

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch
(SGB V)

Autologe Anti-CD19-transduzierte CD3-positive Zellen
(rezidiertes oder refraktäres Mantelzell-Lymphom);
Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung
und von Auswertungen

Vom 16. März 2023

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V .	3
4.	Bürokratiekostenermittlung	4
5.	Verfahrensablauf.....	4

1. Rechtsgrundlage

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

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

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 21. Juli 2022 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Autologe Anti-CD19-transduzierte CD3-positive Zellen gemäß § 35a SGB V beschlossen. Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf den Internetseiten des G-BA haben sich in Folge der Abstimmung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans mit dem pharmazeutischen Unternehmer Änderungen an den Anforderungen des G-BA hinsichtlich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ergeben.

Zu den Änderungen im Einzelnen

Zu 1)

Unter Abwägung von Aufwand und Relevanz für die vorliegende anwendungsbegleitende Datenerhebung und zugehörige Auswertungen, werden die Angaben zu den erforderlichen Endpunkten in der Endpunktkategorie Nebenwirkungen angepasst.

Zu a)

Die Anforderung zur Erhebung und Auswertung von schwerwiegenden unerwünschten Ereignissen hat über die Operationalisierung als Gesamtrate der Ereignisse, die zur Hospitalisierung führen oder eine bestehende Hospitalisierung verlängern und die zum Tod führen, zu erfolgen.

Zu b)

Die unerwünschten Ereignisse, die zur Hospitalisierung führen oder eine bestehende Hospitalisierung verlängern, sind separat als Gesamtrate abzubilden.

Zu c)

Der Endpunkt Abbruch wegen UE kann aufgrund der unterschiedlichen Therapieformen in der vorliegenden Datenerhebung (CAR-T-Zelltherapie versus patientenindividuelle Therapie) nicht sinnvoll interpretiert werden. Daher verzichtet der G-BA im vorliegenden Fall auf die Anforderung der Erhebung und Auswertung des Endpunktes „Abbruch wegen unerwünschter Ereignisse (Gesamtrate)“.

Zu d)

Anstelle der Vollerhebung von schweren unerwünschten Ereignissen muss in der vorliegenden anwendungsbegleitenden Datenerhebung für die spezifischen unerwünschten Ereignisse, zusätzlich zu der Angabe des jeweiligen Schweregrades, das jeweilige in der CTCAE-Klassifikation genannte Kriterium für einen CTCAE-Grad 3 oder höher bzw. das allgemeine Kriterium „deutliche Beeinträchtigung der Aktivität des täglichen Lebens“ erhoben und diese Ereignisse entsprechend separat ausgewertet werden. Dies wird durch eine Ergänzung des Klammerzusatzes konkretisiert. Zudem werden konkrete spezifische unerwünschte Ereignisse ergänzt, welche für die vorliegende anwendungsbegleitende Datenerhebung zu definieren sind. Hierzu zählen: Zytokin-Freisetzungssyndrom (CRS), Neurologische Ereignisse (inklusive Immuneffektorzell-assoziiertes Neurotoxizitätssyndrom, Enzephalopathie und periphere Neuropathie), Infektionen, Zytopenien (Anämie, Leukopenie, Thrombozytopenie), Hypogammaglobulinämie, Tumorlysesyndrom (TLS), Graft-versus-Host-Disease (GvHD), Sekundärneoplasien, Kardiale Arrhythmien, Herzversagen (neu auftretend).

Zu 2)

Bei dieser Änderung handelt es sich um eine Richtigstellung der Angaben zur Anzahl der einzureichenden Zwischenanalysen in Abschnitt 1.4. Der pharmazeutische Unternehmer hat Auswertungen zu 3 Zwischenanalysen vorzulegen. Entsprechend Abschnitt 2.3 des Beschlusses vom 21. Juli 2022 sind diese zu den Zeitpunkten 18 Monate, 36 Monate und 54 Monate nach Beginn der anwendungsbegleitenden Datenerhebung beim G-BA einzureichen.

3. Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V

Ein erneutes Beteiligungsverfahren ist nicht durchzuführen, da die vorliegenden Änderungen zumindest keine wesentlichen Änderungen im Vergleich zum Beschluss zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen vom 21. Juli 2022 darstellen, vgl. 1. Kapitel § 14 Absatz 1 Verfahrensordnung des G-BA.

4. 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.

5. Verfahrensablauf

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 21. Juli 2022 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Autologe Anti-CD19-transduzierte CD3-positive Zellen ist aufgrund der Abstimmung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans mit dem pharmazeutischen Unternehmer eine Änderung des Beschlusses erforderlich.

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

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 16. März 2023 die Änderung der AM-RL einvernehmlich beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	13. Februar 2023 2. März 2023	Beratung über den Sachverhalt
Unterausschuss Arzneimittel	7. März 2023	Beratung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022
Plenum	16. März 2023	Beschlussfassung über die Änderung des Beschlusses vom 21. Juli 2022

Berlin, den 16. März 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken