



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):
Valoctocogen Roxaparvovec (schwere Hämophilie A)

Vom 3. Februar 2022

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	4
4.	Verfahrensablauf.....	4

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 Valoctocogen Roxaparvovec 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, weiteren

Unterlagen zu klinischen Studien sowie einer systematischen Recherche nach Indikationsregistern.

Das zentrale Zulassungsverfahren der EMA für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec im Anwendungsgebiet der schweren Hämophilie A ist im Juli 2021 gestartet¹. Valoctocogen Roxaparvovec wird derzeit im Rahmen eines beschleunigten Zulassungsverfahrens evaluiert. Die Zustimmung der EMA zu einem beschleunigten Zulassungsverfahren erfolgte im vorliegenden Fall für Valoctocogen Roxaparvovec konkret in der Indikation „Behandlung Erwachsener mit schwerer Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel) umfasst, die in ihrer Vorgeschichte weder Faktor-VIII-Hemmkörper noch nachweisbare Antikörper gegen das Adeno-assoziierte Virus vom Serotyp 5 (AAV5) haben“².

Für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec liegt eine Orphan Designation der EMA aus März 2016 vor (EU/3/16/1622)³ vor.

Im Rahmen der Beurteilung der Erforderlichkeit wurde eine systematische Studienrecherche in öffentlich zugänglichen Studienregistern zum Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec für das für die Zulassung beantragte Indikationsgebiet der „Behandlung der schweren Hämophilie A“ durchgeführt.

Die im Rahmen der Studienrecherche durch den G-BA identifizierten Phase-III-Studien laufen entsprechend der öffentlich einsehbaren Angaben im Studienregister⁴ vornehmlich in einer Population, die Erwachsene mit schwerer Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel) umfasst, die in ihrer Vorgeschichte weder Faktor-VIII-Hemmkörper noch nachweisbare Antikörper gegen das Adeno-assoziierte Virus vom Serotyp 5 (AAV5) haben. Letzteres begründet sich auch durch den zugrundeliegenden Wirkmechanismus für Valoctocogen Roxaparvovec als „AAV5- *Adeno-associated viral vector serotype 5 containing a B-domain deleted variant of human coagulation factor VIII gene*“³. Darüber hinaus hat der pharmazeutische Unternehmer für diese konkrete Patientenpopulation auch die Zustimmung der EMA für ein beschleunigtes Zulassungsverfahren erhalten².

Daher werden auf Basis öffentlich verfügbarer Informationen Erwachsene mit schwerer Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel) ohne Faktor-VIII-Hemmkörper und ohne nachweisbare Antikörper gegen das Adeno-assoziierte Virus vom Serotyp 5 (AAV5) als relevante Patientenpopulation für die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec vom G-BA festgelegt.

Im Rahmen der Studienrecherche wurden ausschließlich einarmige Studien identifiziert. Auf Basis dieser Datenlage ist davon auszugehen, dass derzeit keine vergleichenden Daten einer Behandlung mit Valoctocogen Roxaparvovec gegenüber bestehenden Therapiealternativen für die vom G-BA konkretisierte Patientenpopulation vorliegen werden. Daher hält der G-BA

1 https://www.ema.europa.eu/en/documents/minutes/minutes-chmp-meeting-19-22-july-2021_en.pdf

2 https://www.ema.europa.eu/en/documents/minutes/minutes-chmp-meeting-17-20-may-2021_en.pdf

3 https://www.ema.europa.eu/en/documents/orphan-designation/eu/3/16/1622-public-summary-opinion-orphan-designation-adeno-associated-viral-vector-serotype-5-containing-b_en.pdf

4 <https://clinicaltrials.gov/>

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

Im Hinblick auf die Komplexität der zu klärenden Fragestellungen und aus Kapazitätsgründen wird die Erstellung des Konzeptes im vorliegenden Fall ausnahmsweise mehr als 6 Monate in Anspruch nehmen. Damit ist keine Beeinträchtigung der Verfahrensbeteiligten verbunden.

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 (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 Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 25. Januar 2022 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

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

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG EGL	13. Dezember 2021 13. Januar 2022	Beratung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen
Unterausschuss Arzneimittel	25. Januar 2022	Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	3. Februar 2022	Beschlussfassung

Berlin, den 3. Februar 2022

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken