

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buch Sozialgesetzbuch
(SGB V)
Valoctocogen Roxaparvovec (schwere Hämophilie A);
Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 2. Februar 2023

Inhalt

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

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, 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 2. Februar 2023 die Beschränkung der Versorgungsbefugnis nach § 35a Absatz 3b Satz 2 SGB V zur Behandlung der schweren Hämophilie A beschlossen. Der Wirkstoff Valoctocogen Roxaparovec zur Behandlung der schweren Hämophilie A 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, 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 Valoctocogen Roxaparovec 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 Valoctocogen Roxaparovec im Rahmen der Konzepterstellung für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung hat ergeben, dass die laufenden und geplanten Studien einschließlich der Extensionsstudien nicht geeignet sind, die bestehenden Evidenzlücken zu beheben. Die seitens der Zulassungsbehörden beauftragten Beobachtungs- bzw. Registerstudien beziehen sich ausschließlich auf eine einarmige Datenerhebung für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparovec und nicht auf eine vergleichende Datenerhebung. Die pivotale Studie 270-301 ist nicht vergleichend angelegt und kann somit den fehlenden Vergleich gegenüber bestehenden zweckmäßigen Therapiealternativen nicht beheben. Für die Fragestellung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung bedarf es einer Erhebung vergleichender Daten.

Die erwartete infrage kommende Anzahl an Personen, die mit Valoctocogen Roxaparovec behandelt werden können, ist gering, da es sich bei der schweren Hämophilie A um eine seltene Erkrankung handelt, eine Behandlung mit Valoctocogen Roxaparovec laut Zulassung nicht für alle Personen mit schwerer Hämophilie A infrage kommt und zudem 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 Valoctocogen Roxaparvec 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.

Die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V (Beschluss vom 2. Februar 2023) bezieht sich auf erwachsene Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie A (kongenitalem Faktor-VIII-Mangel) ohne Faktor-VIII-Inhibitoren in der Vorgeschichte. Ein negativer AAV5-Antikörperstatus wird dabei nicht als Einschlusskriterium gesehen. Der AAV5-Antikörperstatus ist ein relevantes Kriterium bei der Therapieentscheidung für bzw. gegen die Gentherapie mit Valoctocogen Roxaparvec, wird aber derzeit nicht regelhaft bei Patientinnen und Patienten mit Hämophilie A erhoben. Es wird angenommen, dass der AAV5-Antikörperstatus keinen Zusammenhang mit dem Schweregrad der Hämophilie hat und daher auch nicht den Krankheitsverlauf beeinflusst. Daher wird in der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen die Patientenpopulation mit Bezug auf die Kontrollgruppe nicht auf die fehlende Nachweisbarkeit von AAV5-Antikörpern eingeschränkt.

Die vorliegende Beschränkung der Versorgungsbefugnis bezieht sich jedoch konkret auf den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvec, welcher per Zulassung ausschließlich bei Patientinnen und Patienten mit negativem AAV5-Antikörperstatus angewendet werden darf. Daher betrifft die Versorgungsbeschränkung die Patientenpopulation gemäß zugelassenem Anwendungsgebiet von Valoctocogen Roxaparvec.

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 3. November 2022 über die Änderung der AM-RL beraten.

Der Beschlussentwurf zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 8. November 2022 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 8. November 2022 nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 der Verfahrensordnung des G-BA die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

Das Stellungnahmeverfahren wurde durchgeführt. Nach Abgabe der schriftlichen Stellungnahmen haben die Stellungnehmer auf eine mündliche Anhörung verzichtet.

Die Auswertung der eingegangenen Stellungnahmen wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 24. Januar 2023 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 2. Februar 2023 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	3. November 2022	Beratung über die Änderung der AM-RL
Unterausschuss Arzneimittel	8. November 2022	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage Beschluss zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der AM-RL Terminierung der mündlichen Anhörung
AG AbD	5. Januar 2023	Beratung der eingegangenen Stellungnahmen
AG AbD	5. Januar 2023 16. Januar 2023	Beratung der Beschlussvorlage, sowie Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	24. Januar 2023	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	2. Februar 2023	Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 2. Februar 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken