



Zusammenfassende Dokumentation

über eine Nicht-Änderung
der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):
Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buch Sozialgesetzbuch
(SGB V)
Exagamglogen Autotemcel (β -Thalassämie);
Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 1. Februar 2024

Inhalt

A.	Tragende Gründe und Beschluss	2
1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	2
4.	Verfahrensablauf.....	2
5.	Beschluss	5
B.	Bewertungsverfahren	6
C.	Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellungnahmeverfahrens	7
1.	Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens	8
1.1	Schriftliches Stellungnahmeverfahren.....	8
1.2	Mündliche Anhörung.....	8
2.	Übersicht der eingegangenen Stellungnahmen	8
2.1.	Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellungnahmen.....	8
3.	Auswertung der Stellungnahmen.....	9
D.	Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation	11

A. Tragende Gründe und Beschluss

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, 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 1. Februar 2024 beschlossen das Beratungsverfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel für die Behandlung der β -Thalassämie einzustellen.

Da der Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel somit für das derzeit im Zulassungsverfahren befindliche Anwendungsgebiet zur β -Thalassämie kein Gegenstand eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ist, beschließt der G-BA mit dem vorliegenden Beschluss die Nicht-Änderung der Anlage XII der Arzneimittel-Richtlinie hinsichtlich einer Beschränkung der Versorgungsbefugnis für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel in der Behandlung von: „Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit transfusionsabhängiger β -Thalassämie, für die kein humanes Leukozyten-Antigen (HLA)-identischer, verwandter hämatopoetischer Stammzellenspender zur Verfügung steht.“

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 20. November 2023 über die Änderung der AM-RL beraten.

Der Beschlussentwurf zur Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens wurde in der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 28. November 2023 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 28. November 2023 nach 1. Kapitel § 10 Absatz 1 der Verfahrensordnung des G-BA die Einleitung des Stellungnahmeverfahrens einstimmig beschlossen.

Im Rahmen des schriftlichen Stellungnahmeverfahrens sind Stellungnahmen eingegangen. Die mündliche Anhörung war auf den 8. Januar 2024 terminiert. Nach Abgabe der schriftlichen Stellungnahmen haben die Stellungnehmer auf eine mündliche Anhörung verzichtet.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 1. Februar 2024 die Nicht-Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	20. November 2023	Beratung über die Änderung der AM-RL
Unterausschuss Arzneimittel	28. November 2023	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage Beschluss zur Einleitung des Stellungnahmeverfahrens zur Änderung der AM-RL Terminierung der mündlichen Anhörung
AG AbD	5. Januar 2024	Beratung der eingegangenen Stellungnahmen
Unterausschuss Arzneimittel	8. Januar 2024	Durchführung der mündlichen Anhörung (entfallen)
AG AbD	15. Januar 2024	Beratung der Beschlussvorlage, sowie Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	23. Januar 2024	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	1. Februar 2024	Beschlussfassung über die Nicht-Änderung der Anlage XII AM-RL

Berlin, den 1. Februar 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

5. Beschluss

Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Nicht-Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL):

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buch Sozialgesetzbuch (SGB V)

Exagamglogen Autotemcel (β -Thalassämie);

Beschränkung der Versorgungsbefugnis

Vom 1. Februar 2024

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 1. Februar 2024 beschlossen die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), zuletzt geändert durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 21. Dezember 2023 (BAnz AT 31.01.2024 B4), bezüglich einer Beschränkung der Versorgungsbefugnis nicht zu ändern, da das Beratungsverfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel in der Behandlung der β -Thalassämie mit Beschluss des G-BA vom 1. Februar 2024 eingestellt wurde.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 1. Februar 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

B. Bewertungsverfahren

1. Bewertungsgrundlagen

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 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 G-BA hat in seiner Sitzung am 1. Februar 2024 beschlossen das Beratungsverfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel für die Behandlung der β -Thalassämie einzustellen.

Da der Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel somit für das derzeit im Zulassungsverfahren befindliche Anwendungsgebiet zur β -Thalassämie kein Gegenstand eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ist, beschließt der G-BA mit dem vorliegenden Beschluss die Nicht-Änderung der Anlage XII der Arzneimittel-Richtlinie hinsichtlich einer Beschränkung der Versorgungsbefugnis für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel in der Behandlung von:

„Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit transfusionsabhängiger β -Thalassämie, für die kein humanes Leukozyten-Antigen (HLA)-identischer, verwandter hämatopoetischer Stammzellenspender zur Verfügung steht.“

C. Dokumentation des gesetzlich vorgeschriebenen Stellungnahmeverfahrens

Gemäß § 92 Abs. 3a SGB V wird 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 sowie den für die Wahrnehmung der Interessen der Industrie maßgeblichen Bundesverbänden aus dem Bereich der Informationstechnologie vor der Entscheidung des Gemeinsamen Bundesausschusses Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben. Zu diesem Zweck werden die entsprechenden Entwürfe den folgenden Organisationen sowie den Verbänden der pharmazeutischen Unternehmen mit der Bitte um Weiterleitung zugesendet.

Folgende Organisationen wurden angeschrieben:

Organisation	Straße	Ort
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 Holzhau 8	66663 Merzig
Pro Generika e. V.	Unter den Linden 32 - 34	10117 Berlin
Bundesverband Medizintechnologie e. V. (BVMed)	Reinhardtstraße 29b	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

Organisation	Straße	Ort
Gesellschaft für Phytotherapie e. V.	Postfach 10 08 88	18055 Rostock

Gemäß § 91 Absatz 5a SGB V wurde zudem dem Bundesbeauftragten für den Datenschutz und die Informationsfreiheit (BfDI) und nach § 91 Absatz 5 SGB V i. V. m. 1. Kapitel § 11 Absatz 2 der VerFO des G-BA 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 Stellungnahmeverfahrens wird auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht. (siehe C. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation).

1. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens

1.1 Schriftliches Stellungnahmeverfahren

(siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

1.2 Mündliche Anhörung

Die aufgrund der Abgabe schriftlicher Stellungnahmen zur mündlichen Stellungnahme berechtigten Organisationen haben von ihrem Recht zur mündlichen Anhörung keinen Gebrauch gemacht. (siehe D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation)

Der BfDI hat mit Schreiben vom 13. Dezember 2023 mitgeteilt, dass er keine Stellungnahme zum vorliegenden Beschluss abgibt. Insoweit wurde nach Kapitel 1, § 12 Absatz 2 Satz 2, 3. Spiegelstrich VerFO des G-BA von einer mündlichen Anhörung des BfDI abgesehen.

2. Übersicht der eingegangenen Stellungnahmen

2.1. Übersicht der eingegangenen schriftlichen Stellungnahmen

Organisation	Eingangsdatum
Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI)	13.12.2023
Vertex Pharmaceuticals	21.12.2023
Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie e.V. (GPOH)	20.12.2023

3. Auswertung der Stellungnahmen

3.1. Einwände allgemein

Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)

Im Falle hochinnovativer Gen- oder Zelltherapien wie auch Exagamglogen Autotemcel erfolgt der Einsatz dieser Therapien ausschließlich in hochspezialisierten Zentren, die auch bereits Erfahrung in der Stammzelltransplantation haben. Auch ist davon auszugehen, dass der G-BA, wie in vorherigen Fällen, eine Qualitätssicherungs-Richtlinie für Exa-Cel beschließen wird, welche die Qualifikation der Zentren ebenfalls sicher-stellt.

Aufgrund der wenigen spezialisierten Behandlungszentren und dem an-zunehmenden Interesse dieser an einer hochinnovativen Therapie wie Exagamglogen Autotemcel ist davon auszugehen, dass sich die Behandlungszentren an einer AbD teilnehmen werden. Eine Beschränkung der Versorgungsbefugnis, wie vom G-BA geplant und nach derzeitigem Stand als Automatismus wirkend, ist daher nicht notwendig.

Vertex

„[...] nach Einschätzung von Vertex [ist] die Umsetzbarkeit der im Konzept des IQWiG dargestellten AbD in Frage zu stellen. [...]

Entsprechend Expertenaussagen im Rahmen des Fachaustauschs [...] ist die Patientenzahl im voraussichtlichen Anwendungsgebiet im Register stark limitiert und die Responserate im Kontrollarm als nahezu 0% anzusetzen. Diese Aspekte werden durch die Einschränkung der Versorgungsbefugnis auf Behandlungszentren, die an der AbD teilnehmen, nicht behoben. [...]

[Es] bestehen methodische Herausforderungen hinsichtlich der Umsetzbarkeit und Erhebung patientenberichteter Endpunkte (eng. Patient-reported Outcomes, PRO) und unerwünschter Ereignisse (UE). Auch der arzneimittelrechtliche Charakter der AbD (nicht-interventionelle Studie vs. klinische Prüfung) muss im Falle einer Forderung der Erhebung zusätzlicher Endpunkte zu festgelegten Erhebungszeitpunkten evaluiert werden. [...]

[...] die Behandlung von Exa-Cel [umfasst] vier Stadien, die höchste Ansprüche an die technische und fachliche Kompetenz der behandelnden Zentren erforderlich machen. [...]

[...] ausschließlich hochspezialisierte Behandlungszentren mit Erfahrung im Bereich der Stammzelltransplantation [sind] zu einer Behandlung mit Exa-Cel befähigt.

[...] [alle beteiligten Zentren sind] universitäre Behandlungszentren mit erheblicher Erfahrung im Bereich sowohl der Stammzelltransplantation als auch der Behandlung von Patienten mit Gen- und Zelltherapien. Im Rahmen des Qualifizierungsprozesses der Zentren wird sichergestellt, dass diese die engen, vom Vertex definierten, Qualitätskriterien einhalten.

[...] der G-BA [hat] in seinem Beschluss vom 17. August 2023 bereits die Vorbereitung einer Beschlussempfehlung über die Anforderungen für eine qualitätsgesicherte Anwendung von Exagamglogen autotemcel beauftragt.“

GPOH

„Eine AbD 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. Die Erörterung im Fachaustausch am 27.10.2023 hat nach unserer Einschätzung ergeben, daß ein tragfähiges Konzept zur Erreichung dieses Zieles bisher nicht erkennbar ist bzw. vorliegt. Vor diesem Hintergrund fehlt aus unserer Sicht aktuell eine wesentliche Grundlage für eine Entscheidung zur Beschränkung der Versorgungsbefugnis auf solche Leistungserbringer, die an

einer AbD zu exa-cel bei TDT teilnehmen. Wir schlagen vor, diese Entscheidung erst zu treffen, nachdem ein tragfähiges Konzept für eine AbD erarbeitet wurde.“

Bewertung des G-BA

Da der Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel für das Anwendungsgebiet: „Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit transfusionsabhängiger β -Thalassämie, für die kein humanes Leukozyten-Antigen (HLA)-identischer, verwandter hämatopoetischer Stammzellenspender zur Verfügung steht.“ kein Gegenstand eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ist, hat der G-BA die Nicht-Änderung der Anlage XII der Arzneimittel-Richtlinie hinsichtlich einer Beschränkung der Versorgungsbefugnis für den Wirkstoff Exagamglogen Autotemcel in der Behandlung von: „Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit transfusionsabhängiger β -Thalassämie, für die kein humanes Leukozyten-Antigen (HLA)-identischer, verwandter hämatopoetischer Stammzellenspender zur Verfügung steht.“ beschlossen.

D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation

1. Bekanntmachung über die Einleitung des Verfahrens auf den Internetseiten des G-BA
2. Unterlagen des Stellungnahmeverfahrens
3. Schriftliches Stellungnahmeverfahren
4. Mündliche Anhörung (Einladung)