

## **vfa-Vorschlag für eine Rechtsverordnung zur (frühen) Nutzenbewertung nach § 35a SGB V (AMNOG)**

Der Entwurf eines Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes in der Gesetzlichen Krankenversicherung (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz – AMNOG) sieht bislang in § 35a Abs. 1 Satz 6 sowie in Abs. 7 Satz 4 SGB V vor, dass der Gemeinsame Bundesausschuss in seiner Verfahrensordnung die für die nach § 35a Abs. 1 SGB V durchzuführende Nutzenbewertung anzuwendenden Grundsätze und den damit in Zusammenhang stehenden Beratungsanspruch des pharmazeutischen Unternehmers regelt. Angesichts der großen praktischen und wirtschaftlichen Auswirkungen, die diese Nutzenbewertung für die jeweils betroffenen pharmazeutischen Unternehmen besitzt, hält es der vfa für geboten, dass diese wesentlichen Grundsätze durch das Bundesministerium für Gesundheit selbst im Wege der Rechtsverordnung verbindlich festgelegt werden. Dem Gemeinsamen Bundesausschuss bleibt es unbenommen, im Rahmen der in der Rechtsverordnung bestimmten Grundsätze weitere Einzelheiten festzulegen.

Seite 1/12

**Der nachfolgend beigefügte Entwurf einer Verordnung zur Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen stellt einen Vorschlag dar, wie dies durch das Bundesministerium für Gesundheit umgesetzt werden kann.**

Als redaktionelle Folgeänderung sind die bislang vorgesehenen § 35a Abs. 1 Satz 6 sowie § 35a Abs. 7 Satz 4 SGB V zu ändern.

§ 35a Abs. 1 Satz 6 muss lauten:

*"Das Nähere zur Nutzenbewertung regelt das Bundesministerium für Gesundheit in einer Rechtsverordnung. Darin wird insbesondere festgelegt, welche Grundsätze für die Bestimmung der Vergleichstherapie gelten, in welchen Fällen zusätzliche Nachweise notwendig sind, unter welchen Voraussetzungen Studien welcher Evidenzstufe zu verlangen sind sowie Übergangsregelungen für diejenigen Arzneimittel, mit denen bereits Studien begonnen oder abgeschlossen wurden; weitere Einzelheiten regelt der Gemeinsame Bundesausschuss in seiner Verfahrensordnung."*

§ 35a Abs. 7 Satz 4 SGB V erhält folgenden Inhalt:

*"Das Nähere einschließlich der Erstattung der für diese Beratung entstandenen Kosten regelt das Bundesministerium für Gesundheit im Wege der Rechtsverordnung; weitere Einzelheiten regelt der Gemeinsame Bundesausschuss in seiner Verfahrensordnung."*

## **Verordnung zur Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen**

Seite 2/12

### **(Arzneimittel-Nutzenbewertung-Verordnung – ANV)**

Auf Grund des § 35a Abs. 1 Satz 6, Abs. 7 Satz 4 des Fünften Sozialgesetzbuchs – Gesetzliche Krankenversicherung – (Artikel 1 des Gesetzes vom 20. Dezember 1988, BGBl. I S. 2477, 2482), das zuletzt durch Art. 1 des Gesetzes vom [...] (BGBl. I [...]) geändert worden ist, verordnet das Bundesministerium für Gesundheit mit Zustimmung des Bundesrates:

#### **§ 1 Anwendungsbereich**

(1) Diese Verordnung regelt die Anforderungen, das Verfahren sowie die Kosten der Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen durch den Gemeinsamen Bundesausschuss nach § 35a SGB V. Die Kosten-Nutzen-Bewertung nach § 35b SGB V bleibt von dieser Verordnung unberührt.

(2) Im Sinne dieser Verordnung sind Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen alle Arzneimittel, die mindestens einen Wirkstoff beinhalten, der nach dem 01. Januar 2011 erstmalig im Geltungsbereich dieser Rechtsverordnung in Verkehr gebracht wird. Arzneimittel im Sinne des Satzes 1 unterliegen auch insoweit einer (weiteren) Nutzenbewertung, als sie in einem anderen (weiteren) Anwendungsgebiet zugelassen werden.

(3) Diese Verordnung betrifft die Nutzenbewertung von Arzneimitteln im Sinne der Absatzes 2, die sich erstmals seit dem 01. Januar 2011 im Geltungsbereich dieser Rechtsverordnung in Verkehr befinden. Für bereits vor diesem Zeitpunkt im Geltungsbereich dieser Rechtsverordnung im Verkehr befindliche Arzneimittel kann der Gemeinsame Bundesausschuss eine Nutzenbewertung veranlassen. Die §§ 2 – 7 dieser Rechtsverordnung gelten in diesem Fall sinngemäß mit der Maßgabe, dass der pharmazeutische Unternehmer nach Einleitung des Verfahrens das Dossier im Sinne des § 4 innerhalb von sechs Monaten vorzulegen hat. Dabei ist den Besonderheiten aufgrund der Erfahrungen der Anwendung am Patienten angemessen Rechnung zu tragen.

#### **§ 2 Verfahrensabschnitte der Nutzenbewertung**

Das Verfahren der Nutzenbewertung besteht aus der auf Antrag durchgeführten Beratung des pharmazeutischen Unternehmers (§ 3), der Vorlage des Dossiers (§ 4), der Bewertung des Dossiers (§ 6) sowie des Beschlusses über die Nutzenbewertung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (§ 7).

#### **§ 3 Beratung des pharmazeutischen Unternehmers**

(1) Vor Einreichung des nach § 4 vorzulegenden Dossiers berät der Gemeinsame Bundesausschuss frühzeitig den pharmazeutischen

Unternehmer über die mit dem Dossier einzureichenden Unterlagen. Die Beratung erfolgt auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmers. Der Antrag kann formlos erfolgen und soll spätestens 6 Monate vor Inverkehrbringen gestellt werden, insbesondere ist bereits vor und während des Zulassungsverfahrens ein Antrag möglich. Der Antrag soll die für das später zu erstellende Dossier möglicherweise relevanten Unterlagen und Informationen enthalten, über die der pharmazeutische Unternehmer zum Zeitpunkt der Antragstellung verfügt. Der Gemeinsame Bundesausschuss stellt auf seiner Internetseite ein Antragsformular zur Verfügung, das dem pharmazeutischen Unternehmer die Antragstellung erleichtern soll.

(2) Der Gemeinsame Bundesausschuss sichtet nach Eingang des Antrags die eingereichten Unterlagen und Informationen zur Vorbereitung des Beratungsgesprächs. Innerhalb von vier Wochen nach Eingang des Antrags findet ein Beratungsgespräch mit dem pharmazeutischen Unternehmer statt, bei dem die Anforderungen an das Dossier erörtert werden. Der Gemeinsame Bundesausschuss soll das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte an der Beratung beteiligen. Der pharmazeutische Unternehmer kann seinerseits Dritte in angemessenem Umfang an dem Beratungsgespräch beteiligen. Die in § 92 Abs. 3a Satz 1 SGB V genannten Personenkreise sollen beteiligt werden. Im Beratungsgespräch können Vereinbarungen über die Methodik zur Feststellung eines therapie relevanten Zusatznutzens des jeweiligen Arzneimittels getroffen werden, insbesondere hinsichtlich der Vergleichstherapie, der für die Frühbewertung adäquaten Endpunkteparameter, des Einbeziehens von Komparatoren sowie der methodischen Vorgehensweisen, insbesondere Subgruppenanalytik, Sensibilitätsanalytik, Metaanalytik und Modellierung einschließlich indirekter Vergleiche mit Komparatoren. Die Vereinbarungen sind für die Nutzenbewertung nach § 6 verbindlich.

(3) Das Ergebnis des Beratungsgesprächs wird in einem Beratungsprotokoll schriftlich festgehalten. Ein Entwurf des Beratungsprotokolls wird vom pharmazeutischen Unternehmer erstellt und zur Abstimmung an den Gemeinsamen Bundesausschuss übermittelt. Der pharmazeutische Unternehmer und, soweit an der Beratung beteiligt, das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte erhalten Abschriften des ggf. korrigierten Protokolls innerhalb von vier Wochen nach Durchführung des Beratungsgesprächs.

(4) Für die Beratung erhält der Gemeinsame Bundesausschuss vom pharmazeutischen Unternehmer Ersatz seiner Auslagen. Gleiches gilt bei der Beteiligung des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritter. Die Einzelheiten regelt der Gemeinsame Bundesausschuss in seiner Geschäftsordnung.

#### **§ 4 Vorlage des Dossiers durch den pharmazeutischen Unternehmer**

Seite 4/12

(1) Die Nutzenbewertung erfolgt aufgrund eines vom pharmazeutischen Unternehmer einzureichenden Dossiers. Das Dossier ist spätestens zum Zeitpunkt des Inverkehrbringens des jeweiligen Arzneimittels beim Gemeinsamen Bundesausschuss einzureichen. Sofern der pharmazeutische Unternehmer das Dossier nicht oder ohne ausreichende Entschuldigung verspätet vorlegt, gilt der Zusatznutzen des Arzneimittels als nicht belegt. Die Verspätung ist ausreichend entschuldigt, wenn eine vom pharmazeutischen Unternehmer beantragte Beratung gemäß § 3 nicht rechtzeitig erfolgt ist. In diesem Fall ist das Dossier innerhalb einer angemessenen Zeit nach dem nachzuholenden Beratungsgespräch vorzulegen.

(2) Bei unter diese Verordnung fallenden Arzneimitteln, die im Zeitraum 1. Januar 2011 bis 31. Dezember 2011 zugelassen werden, ist das Dossier abweichend von Abs. 1 spätestens sechs Monate nach dem Zeitpunkt des Inverkehrbringens vorzulegen.

(3) Der Gemeinsame Bundesausschuss prüft nach Eingang des Dossiers, ob es inhaltlich vollständig gemäß § 5 ist und teilt dem pharmazeutischen Unternehmer das Ergebnis dieser Prüfung innerhalb von 14 Tagen mit. Erfolgt keine Mitteilung innerhalb dieser Frist, gilt das Dossier als vollständig. Ist das Dossier unvollständig, informiert der Gemeinsame Bundesausschuss den pharmazeutischen Unternehmer darüber, welche Unterlagen fehlen und gibt ihm Gelegenheit, diese innerhalb einer angemessenen Frist nachzureichen. Nach dieser Frist eingereichte Unterlagen sind nur zu berücksichtigen, wenn sie zu keiner Verzögerung der Nutzenbewertung führen, es sei denn die beantragte Beratung gemäß § 3 ist nicht erfolgt.

#### **§ 5 Inhalt des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers**

(1) Das vom pharmazeutischen Unternehmer einzureichende Dossier enthält Angaben und Nachweise über die zugelassenen Anwendungsgebiete, den medizinischen Nutzen, den medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie, die Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht, die Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung unter Berücksichtigung der gesetzlich vorgesehenen Abschläge und Einsparpotentiale sowie die Anforderung an einer qualitätsgesicherte Anwendung.

(2) Der pharmazeutische Unternehmer hat die Zulassungsunterlagen sowie alle von ihm durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen in Form der Übersichtsliste und Abstracts aus den Zulassungsunterlagen einzureichen. Er hat den Gemeinsamen Bundesausschuss ferner über alle ihm bekannten Studienergebnisse und Studienübersichten zu informieren. Unbeschadet des Absat-

zes 3 sind weitere Nachweise vom pharmazeutischen Unternehmer nicht vorzulegen.

Seite 5/12

(3) Falls es eine allgemein anerkannte und zugelassene Vergleichstherapie gibt, die in den Zulassungsstudien nicht geprüft wurde, kann der Gemeinsame Bundesausschuss zusätzliche Unterlagen zum Beleg des Zusatznutzens verlangen, die der bestverfügbaren Evidenz entsprechen. Indirekte Vergleiche und Modellierungen sind nach Maßgabe international anerkannter Standards der Evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie zu akzeptieren.

(4) Das Dossier soll dem Gemeinsamen Bundesausschuss in elektronischer Form übermittelt werden. Der Gemeinsame Bundesausschuss akzeptiert die Formate der Zulassungsbehörde. Das Dossier und die dem Dossier beigelegten Unterlagen können in deutscher oder englischer Sprache eingereicht werden.

## **§ 6 Bewertung des Dossiers**

(1) Die Nutzenbewertung erfolgt auf Grundlage des Dossiers. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte mit einer entsprechenden gutachterlichen Stellungnahme beauftragen.

(2) Die Bewertung des Dossiers erfolgt auf Grundlage der in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin, hinsichtlich der Angaben zu den Kosten der Therapie nach den in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen Standards der Gesundheitsökonomie. Dabei ist insbesondere durch Akzeptanz von intermediären Endpunkten und Modellierung angemessen zu berücksichtigen, dass zum Bewertungszeitpunkt zu vielen patientenrelevanten Endpunkten keine final aussagefähigen Daten erwartet werden können. Die Bewertung darf nicht den Ergebnissen und Feststellungen der Zulassungsbehörde widersprechen, insbesondere sind die von den Zulassungsbehörden akzeptierten oder vorgegebenen Komparatoren zu berücksichtigen. Im Beratungsgespräch getroffene Vereinbarungen über die Methodik zur Feststellung eines therapie relevanten Zusatznutzens nach § 3 sind zu beachten.

(3) Die Bewertung des Nutzens erfolgt unter Übernahme der Bewertungen der Zulassungsbehörde und im Übrigen unter Berücksichtigung des seit der Erteilung der Zulassung vergangenen Zeitraums auf Grundlage der jeweils besten, verfügbaren Evidenz nach in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen validierten Methoden, insbesondere auch unter Verwendung von prognostischen Bewertungsmethoden und intermediären Endpunkten bzw. Surrogatparametern.

(4) Der Nutzen umfasst sämtliche für die in der Krankenversicherung genannten Leistungsarten therapeutisch relevanten Vorteile, insbesondere auch eine Verkürzung der Krankheitsdauer, bessere Wirksamkeit, eine Verlängerung des Überlebens, eine quantitative

oder qualitative Verringerung von Nebenwirkungen, eine Verbesserung der Therapieadhärenz/Compliance und eine Verbesserung patientenberichteter Endpunkte wie etwa der Lebensqualität und Therapiezufriedenheit.

Seite 6/12

(5) Die Bewertung des Zusatznutzens erfolgt durch Vergleich mit anderen Arzneimitteln und Behandlungsformen unter Berücksichtigung des Zusatznutzens für die Patienten. Beim Patientennutzen sollen neben anderen Nutzenaspekten insbesondere eine Verbesserung des Gesundheitszustandes, eine Verkürzung der Krankheitsdauer, eine Verlängerung der Lebensdauer, eine Verringerung von Nebenwirkungen, eine Verbesserung der Therapieadhärenz/Compliance und eine Verbesserung valider patientenberichteter Endpunkte, insbesondere wie der Lebensqualität und Therapiezufriedenheit, einbezogen werden. Die Bewertung des Zusatznutzens orientiert sich am Nutzen vergleichbarer therapeutischer Interventionen; im Regelfall ist die Vergleichstherapie der Zulassungsstudien maßgeblich.

(6) Für die Bestimmung der Vergleichstherapie sind insbesondere folgende Grundsätze zu beachten:

1. Falls im Markt pharmakologische Analoga existieren und die zugelassene Indikation/Population vergleichbar ist, ist das am häufigsten angewandte Analogon als Vergleichstherapie heranzuziehen,
2. Falls pharmakologische Analoga existieren, jedoch die zugelassene Indikation/Population für das am häufigsten eingesetzte Analogon nicht vergleichbar ist, ist das Analogon auszuwählen, das in der Indikation für die größte Patientenzahl angewandt wird,
3. Falls bei einer neuen therapeutischen Klasse („NCE“) für die zugelassene Indikation mehr als eine Therapiealternative existiert, ist diejenige Alternativtherapie der Komparator, die bei der größten Patientenzahl angewandt wird,
4. Falls keine pharmakologische Therapiealternative existiert („Solist“), ist der allgemein anerkannte medizinische Behandlungsstandard als Vergleich heranzuziehen.

(7) Die Bewertung des Dossiers ist innerhalb von drei Monaten nach Einreichung des Dossiers abzuschließen und auf der Homepage des Gemeinsamen Bundesausschusses zu veröffentlichen. Der pharmazeutische Unternehmer erhält zu diesem Zweck die Möglichkeit, vor Veröffentlichung der Bewertung Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse unkenntlich zu machen.

(8) Bei einer eventuellen Einsichtnahme des Gemeinsamen Bundesausschusses oder des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen in die Zulassungsunterlagen bei der zuständigen Bundesoberbehörde sowie bei der daraus resultierenden Verwendung im Bewertungsprozess ist den datenschutzrechtlichen Vorgaben der Richtlinie 2001/20/EG, des Bundesdatenschutzgesetzes und der §§ 40 ff. des Arzneimittelgesetzes in vollem Umfang Rechnung zu tragen. Dies gilt insbesondere, soweit es um sensible Gesundheitsdaten von Patienten geht.

## **§ 7 Beschluss über den Nutzen durch den Gemeinsamen Bundesausschuss**

Seite 7/12

(1) Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt auf Grundlage der Bewertung nach § 6 innerhalb von drei Monaten über den Zusatznutzen des Arzneimittels. Der Beschluss ist zu begründen. Vor Beschlussfassung sind Stellungnahmen der betroffenen medizinischen Fachgesellschaften sowie der medizinischen und pharmazeutischen Wissenschaft und Praxis, der Berufsvertretungen der Apotheker, der pharmazeutischen Unternehmer und ihrer Spitzenorganisationen einzuholen. Eine mündliche Anhörung ist auf Grundlage von schriftlichen Stellungnahmen durchzuführen.

(2) Der Gemeinsame Bundesausschuss kann in seinem Beschluss von der Nutzenbewertung nach § 6 abweichen, wenn dies sachlich begründet ist. Eine sachliche Begründung liegt insbesondere vor, wenn eine abweichende Bewertung zur Sicherstellung der Versorgung erforderlich ist oder neue wissenschaftliche Erkenntnisse vorliegen, die eine andere Bewertung rechtfertigen, oder die Nutzenbewertung nicht mit den Feststellungen der Zulassungsbehörde oder den in der Beratung vereinbarten Richtlinien vereinbar ist.

(3) Der Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses darf nicht den Feststellungen der Zulassungsbehörde über Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit des Arzneimittels widersprechen. Ein Widerspruch liegt insbesondere dann vor, wenn der Beschluss die der Zulassung zugrundeliegende Bewertung der Vergleichstherapie, der Surrogatparameter sowie des Nutzen-Risiko-Verhältnisses missachtet.

(4) Der Beschluss ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie und ist zusammen mit seinen tragenden Gründen im Internet zu veröffentlichen. Der Beschluss kann befristet werden.

## **§ 8 Inkrafttreten**

Diese Verordnung tritt am Tag nach der Verkündung in Kraft.

## **Erläuterungen zu den einzelnen Vorschriften:**

Seite 8/12

### **Zu § 1:**

Die Vorschrift regelt den Anwendungsbereich der Verordnung. Absatz 1 stellt klar, dass die Verordnung ausschließlich die Frühbewertung nach § 35a SGB V betrifft. Sie betrifft damit nicht die davon zu unterscheidende reguläre Kosten-Nutzen-Bewertung nach § 35b SGB V, die für Arzneimittel gilt, die nicht von der Frühbewertung erfasst werden.

Absatz 2 berücksichtigt, dass der Gesetzgeber mit der Nutzenbewertung des § 35a SGB nur solche Arzneimittel erfassen möchte, bei denen zumindest ein Wirkstoff als neu qualifiziert werden kann. In Abgrenzung zum Bestandsmarkt, den der Gesetzgeber nicht einer obligatorischen Nutzenbewertung unterziehen möchte, sind nur solche Wirkstoffe neu, die bislang noch nicht bekannt sind, also erst nach dem 01. Januar 2011 erstmalig im Geltungsbereich dieser Rechtsverordnung in Verkehr gebracht werden. An einem neuen Wirkstoff fehlt es umgekehrt, wenn das jeweilige Arzneimittel einen Wirkstoff enthält, der bereits in einem anderen Arzneimittel vor dem 01. Januar 2011 in Verkehr gebracht wurde. Auch das Inverkehrbringen eines Arzneimittels mit einem neuen Wirkstoff in einer anderen oder weiteren Indikation unterliegt dieser Verordnung. Ist ein derartiges Arzneimittel eines pharmazeutischen Unternehmers bereits einer Nutzenbewertung nach dieser Verordnung unterzogen worden, erstreckt sich die erneute Nutzenbewertung ausschließlich auf die weitere Indikation.

Die Neuheit des in dem jeweiligen Arzneimittel enthaltenen Wirkstoffs ist nicht hinreichend, um eine Nutzenbewertung auszulösen. Zur sachgerechten Abgrenzung zwischen zu bewertenden neuen Arzneimitteln und dem Bestandsmarkt ist der Zeitpunkt des Inverkehrbringens entscheidend. Nach Absatz 3 muss sich daher das jeweilige Arzneimittel erstmals seit dem 1. Januar 2011 in Deutschland in Verkehr befinden. Ob ein Arzneimittel sich erstmals in Verkehr befindet, ist im Vergleich zu den vor dem 1. Januar 2011 vermarkteten Arzneimitteln zu bewerten.

Für Arzneimittel, die nach Absatz 3 dem Bestandsmarkt zuzurechnen sind, kann der Gemeinsame Bundesausschuss optional eine Nutzenbewertung durchführen. Die §§ 2-7 der Verordnung gelten hierfür entsprechend. Aufgrund der unterschiedlichen Ausgangssituation ist das Dossier nach Einleitung des Verfahrens durch den Gemeinsamen Bundesausschuss abweichend von § 4 innerhalb von sechs Monaten vorzulegen. Auch ist den Besonderheiten aufgrund der bei Bestandsarzneimitteln gemachten Erfahrungen bei der Anwendung am Patienten angemessen Rechnung zu tragen.

### **Zu § 2:**

Die Vorschrift legt die Verfahrensabschnitte der Frühbewertung fest. Die Reihenfolge der genannten Abschnitte orientiert sich an

dem chronologischen Ablauf des Verfahrens. Dieses sieht vor, dass der pharmazeutische Unternehmer, soweit er dies beantragt hat, zunächst vom Gemeinsamen Bundesausschuss über das vorzulegende Dossier und die daran zu stellenden Anforderungen beraten wird. Der nächste Verfahrensabschnitt besteht in der Vorlage des jeweiligen Dossiers durch den pharmazeutischen Unternehmer beim Gemeinsamen Bundesausschuss. Die eigentliche Nutzenbewertung erfolgt in den nächsten beiden Verfahrensabschnitten. Hier geht es einerseits um die Bewertung des Dossiers durch den Gemeinsamen Bundesausschuss oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, andererseits um den auf Grundlage dieser Bewertung zu treffenden Beschluss über den jeweiligen Zusatznutzen des entsprechenden Arzneimittels.

Seite 9/12

### **Zu § 3:**

Die Regelung konkretisiert den vom Gesetzgeber in § 35a Abs. 7 SGB V vorgesehenen Beratungsanspruch des pharmazeutischen Unternehmers gegenüber dem Gemeinsamen Bundesausschuss. Sinn des Beratungsanspruchs ist es, dem pharmazeutischen Unternehmer frühzeitig dabei zu unterstützen, die für das später einzureichende Dossier erforderlichen Studien und Unterlagen zu erstellen.

Absatz 1 stellt klar, dass die Beratung zu Unterlagen und Inhalten vom Antrag des jeweiligen pharmazeutischen Unternehmens abhängt, den dieser jederzeit formlos, insbesondere bereits vor dem Zulassungsverfahren des jeweiligen Arzneimittels, stellen kann. Zur Sicherstellung des vom Beratungsgesprächs verfolgten Zwecks soll der Antrag in aller Regel spätestens sechs Monate vor Inverkehrbringen des Arzneimittels gestellt werden. Zur Anleitung des pharmazeutischen Unternehmers stellt der Gemeinsame Bundesausschuss auf seiner Internetseite ein Antragsformular zur Verfügung. Die Verwendung des Formulars ist fakultativ.

Absatz 2 sieht vor, dass innerhalb von zwei Wochen nach Antragstellung ein Beratungsgespräch stattfinden soll. Dabei wird der Inhalt des Gesprächs dahingehend konkretisiert, dass Struktur und Inhalt des Dossiers beraten werden sollen. Das pharmazeutische Unternehmen kann Dritte zum Beratungsgespräch hinzuziehen. Hierbei soll der Gemeinsame Bundesausschuss das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte beteiligen. Die in § 92 Abs. 3a Satz 1 SGB V genannten Personengruppen sollen in aller Regel beteiligt werden. Das Ergebnis der Beratung kann in Vereinbarungen über die Methodik zur Feststellung eines therapierelevanten Zusatznutzens festgehalten werden, um dem pharmazeutischen Unternehmer die erforderliche Planungssicherheit zu geben. Dabei stellt die Regelung klar, dass die getroffenen Vereinbarungen für die spätere Bewertung der Dossiers verbindlich sind.

**Zu § 4:**

Seite 10/12

Die Vorschrift regelt die Vorlage und die Vorabprüfung des Dossiers. Nach Absatz 1 ist das Dossier wie gesetzlich bereits vorgesehen spätestens zum Zeitpunkt des Inverkehrbringens des jeweiligen Arzneimittels beim Gemeinsamen Bundesausschuss einzureichen. Eine verspätete Einreichung führt grundsätzlich dazu, dass der jeweilige Zusatznutzen des Arzneimittels als nicht belegt gilt. Damit wird der gesetzgeberische Wille umgesetzt, wonach grundsätzlich nur fristgerecht eingereichte Unterlagen Berücksichtigung finden sollen. Um den vom Gesetzgeber vorgesehenen Beratungsanspruch um seine Durchsetzung zu stärken, sieht Absatz 1 vor, dass eine Verspätung als ausreichend entschuldigt gilt, wenn die vom pharmazeutischen Unternehmer beantragte Beratung nicht erfolgt ist.

Absatz 2 der Vorschrift enthält die vom Gesetzgeber geforderte Übergangsregelung für Arzneimittel mit zum 1. Januar 2011 bereits begonnenen und abgeschlossene Studien. Bei Arzneimitteln, deren Zulassungsstudien in diesem Zeitpunkt bereits angefangen oder abgeschlossen waren, ist es sachgerecht, eine Übergangsvorschrift für die Vorlage des Dossiers vorzusehen. Zur Vermeidung von administrativen Aufwand enthält die Verordnung eine allgemeine Vermutung, wonach bei Arzneimitteln, die im Zeitraum vom 1. Januar 2001 bis 31. Dezember 2011 zugelassen werden, eine derartige Konstellation vorliegt. Für diesen Fall wird eine Übergangsfrist von sechs Monaten festgelegt werden.

Absatz 3 der Vorschrift enthält das Verfahren der Vorprüfung des Dossiers durch den Gemeinsamen Bundesausschuss. Dabei prüft der Gemeinsame Bundesausschuss innerhalb von 14 Tagen, ob das jeweilige Dossier vollständig ist. Um die Einhaltung dieser Frist im Sinne der Verfahrensbeschleunigung zu gewährleisten, gilt das Dossier als vollständig, falls der Gemeinsame Bundesausschuss nicht innerhalb der Frist das Ergebnis dem pharmazeutischen Unternehmer mitteilt. Im Falle der Unvollständigkeit wird dem pharmazeutischen Unternehmer eine angemessene Frist zur Nachreichung der fehlenden Unterlagen eingeräumt. Unterlagen, die in dieser Frist nachgereicht werden, sind zu berücksichtigen. Danach eingereichte Unterlagen dürfen demgegenüber nur dann beachtet werden, sofern sie nachweislich zu keiner Verfahrensverzögerung führen. Zur Stärkung des Beratungsanspruchs des pharmazeutischen Unternehmens gilt ausnahmsweise etwas anderes, wenn eine beantragte Beratung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss nicht erfolgt ist.

**Zu § 5:**

Der in Absatz 1 geregelte Inhalt des vorzulegenden Dossiers richtet sich nach den gesetzlichen Vorgaben.

Absatz 2 bestimmt, dass der pharmazeutische Unternehmer als Nachweis der im Dossier gemachten Angaben die Zulassungsunter-

lagen sowie alle sonst von ihm durchgeführten klinischen Studien in Form der Übersichtsliste und Abstracts aus den Zulassungsunterlagen (Tabulated Summaries) einzureichen hat. Im Übrigen besteht eine Informationspflicht des pharmazeutischen Unternehmers über alle ihm sonst bekannten Studienergebnisse. Weitere Nachweise können vom pharmazeutischen Unternehmen grundsätzlich nicht verlangt werden.

Absatz 3 legt fest, in welchen Ausnahmekonstellationen weitere Nachweise verlangt werden können. Dies ist dann der Fall, wenn eine allgemein anerkannte und zugelassene Vergleichstherapie existiert, die in den Zulassungsstudien nicht geprüft wurde. Die Evidenz-Anforderungen an die vom pharmazeutischen Unternehmen zu erbringenden weiteren Unterlagen sind dort ebenfalls geregelt.

Im Einklang mit internationalen Standards soll das Dossier dem Gemeinsamen Bundesausschuss in elektronischer Form übermittelt werden. Eine Übermittlung des Dossiers in physischer Form ist dagegen nicht erforderlich. Im Übrigen dürfen keine anderen Standards verlangt werden, als diejenigen, die von der Zulassungsbehörde akzeptiert wurden.

#### **Zu § 6:**

Die Regelung betrifft die Bewertung des Dossiers. Entsprechend der vom Gesetzgeber vorgesehenen Regelung sieht die Regelung in Absatz 1 vor, dass der Gemeinsame Bundesausschuss das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte hierzu mit einer gutachterlichen Stellungnahme beauftragen kann. Vor Auftragserteilung soll eine mündliche Anhörung der beteiligten Kreise stattfinden.

Absatz 2 legt die grundlegenden Wertungsmaßstäbe fest, anhand derer die Bewertung zu erfolgen hat. Dabei wird festgelegt, dass die Bewertung auf Basis der in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin zu erfolgen hat. Angesichts der Tatsache, dass es sich um eine Frühbewertung handelt, bei der naturgemäß keine Langzeiterfahrungen vorliegen können, ist bei der Bewertung in Rechnung zu stellen, dass keine Nachweise verlangt werden dürfen, die aus tatsächlichen Gründen überhaupt nicht erbracht werden können und damit die Anforderungen überspannen. Daneben darf die Bewertung weder der von der Zulassungsbehörde getroffenen Entscheidung noch den im Beratungsgespräch vereinbarten Richtlinien widersprechen. Im ersten Fall entstünde ein Widerspruch zur Zulassungsentscheidung der Zulassungsbehörden, die nach nach der Rechtsprechung des Bundessozialgerichts auch insoweit verbindlich ist (sog. Tatbestandswirkung). Im zweiten Fall entfielen im nachhinein die Geschäftsgrundlage, auf der der pharmazeutische Unternehmer die für das Dossier eingereichten Studien und Unterlagen geplant hat.

Absatz 3 und 4 legt fest, dass die maßgeblichen Bewertungskriterien für den Nutzen die Zulassungsunterlagen sowie die jeweils bestverfügbare Evidenz ist. Absatz 5 legt den Zusatznutzen fest. In Absatz 6 werden nähere Erläuterungen zu den verschiedenen Fallkonstellationen für Vergleichstherapien gegeben.

Seite 12/12

In Absatz 7 wird geregelt, dass die Bewertung innerhalb von drei Monaten abzuschließen und auf der Homepage zu veröffentlichen ist. Der pharmazeutische Unternehmer erhält die Möglichkeit, Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse vor Veröffentlichung unkenntlich zu machen, etwa im Wege der Schwärzung. Absatz 8 stellt die Einhaltung der datenschutzrechtlichen Vorschriften sicher.

#### **Zu § 7:**

Die Vorschrift regelt den letzten Verfahrensabschnitt der Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt nach Absatz 1 auf Grundlage der von ihm oder dem Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen getroffenen Nutzenbewertung darüber, ob das jeweils bewertete Arzneimittel einen Zusatznutzen hat oder in das Festbetragssystem zu integrieren ist. Im Einklang mit den gesetzlichen Vorgaben sieht die Regelung vor, dass vor Beschlussfassung die Stellungnahmen der betroffenen Fachgesellschaften einzuholen sind und eine mündliche Anhörung auf Grundlage schriftlicher Stellungnahmen durchzuführen ist.

Die Verordnung konkretisiert in Absatz 2, dass die Nutzenbewertung maßgebliche Grundlage für den Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses ist. Eine Abweichung davon bedarf einer sachlichen Begründung. Diese liegt vor allem dann vor, wenn eine abweichende Bewertung zur Sicherstellung der Versorgung erforderlich ist oder sich die Bewertungsgrundlage durch neue wissenschaftliche Erkenntnisse geändert hat. Ferner kann von der Nutzenbewertung abgewichen werden, wenn darin die Feststellung der Zulassungsbehörde oder die in der Beratung vereinbarten Richtlinien nicht beachtet werden.

Daneben legt Absatz 3 fest, dass der Gemeinsame Bundesausschuss nicht von der Tatbestandswirkung der Zulassungsentscheidung abweichen kann. Damit wird (deklaratorisch) die Rechtsprechung des Bundessozialgerichts umgesetzt. Es entstünde ein Wertungswiderspruch und eine Abweichung von einer anderen verbindlichen behördlichen Entscheidung, wenn sich der Gemeinsame Bundesausschuss über die Bewertung der Zulassungsbehörde hinwegsetzen würde. Zur Klarstellung wird der Umfang der Tatbestandswirkung näher konkretisiert.