

**Entwurf (Stand 8.11.2010)**

**Verordnung über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach § 35a Absatz 1 SGB V für  
Erstattungsvereinbarungen nach § 130b SGB V  
(kurz: Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung - AM-NutzenV)-**

**Eingangsformel**

Auf Grund des § 35a Absatz 1 Satz 6 und 7 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) – Gesetzliche Krankenversicherung - (Artikel 1 des Gesetzes vom 20. Dezember 1988, BGBl. I S. 2477, 2482), der durch Artikel 1 Nummer 5 des Gesetzes vom XXX (BGBl. I S. XXXX) eingefügt worden ist, verordnet das Bundesministerium für Gesundheit:

## **§ 1 Geltungsbereich**

Die Verordnung regelt das Nähere zur Nutzenbewertung von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V. Der Gemeinsame Bundesausschuss regelt weitere Einzelheiten erstmals innerhalb eines Monats nach Inkrafttreten der Rechtsverordnung in seiner Verfahrensordnung.

## **§ 2 Begriffsbestimmungen**

- (1) Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen im Sinne dieser Verordnung sind Arzneimittel, die Wirkstoffe enthalten, deren Wirkungen bei der erstmaligen Zulassung in der medizinischen Wissenschaft nicht allgemein bekannt sind. Ein Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen im Sinne dieser Verordnung gilt solange als ein Arzneimittel mit einem neuen Wirkstoff, wie für das erstmalig zugelassene Arzneimittel mit dem Wirkstoff Unterlagenschutz besteht.
- (2) Ein neues Anwendungsgebiet ist ein Anwendungsgebiet, für das nach § 29 Absatz 3 Nummer 3 des Arzneimittelgesetzes eine neue Zulassung erteilt wird oder das als größere Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nr. 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) 1234/2008 eingestuft wird.
- (3) Der Nutzen eines Arzneimittels im Sinne dieser Verordnung ist der patientenrelevante therapeutische Effekt insbesondere hinsichtlich der Verbesserung des Gesundheitszustands, der Verkürzung der Krankheitsdauer, der Verlängerung des Überlebens, der Verringerung von Nebenwirkungen oder einer Verbesserung der Lebensqualität.
- (4) Der Zusatznutzen eines Arzneimittels im Sinne dieser Verordnung ist ein quantitativ oder qualitativ höherer Nutzen nach Absatz 3 für Patientinnen und Patienten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie.
- (5) Zweckmäßige Vergleichstherapie im Sinne dieser Verordnung ist diejenige Therapie, mit der ein Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen für die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V hinsichtlich Nutzen und Zusatznutzen verglichen wird.

## **§ 3 Anwendungsbereich der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V**

Die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 und Absatz 6 SGB V wird durchgeführt für erstattungsfähige Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen

1. die ab dem 1. Januar 2011 erstmals in den Verkehr gebracht werden,
2. die ab dem 1. Januar 2011 erstmals in den Verkehr gebracht worden sind und die nach dem 1. Januar 2011 ein neues Anwendungsgebiet nach § 2 Absatz 2 erhalten,
3. wenn der Gemeinsame Bundesausschuss eine Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 6 SGB V veranlasst,
4. die vor dem 1. Januar 2011 in den Verkehr gebracht worden sind und die nach dem 1. Januar 2011 ein neues Anwendungsgebiet nach § 2 Absatz 2 erhalten, sofern der Gemeinsame Bundesausschuss für das Arzneimittel bereits eine Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 6 SGB V veranlasst hat,
5. frühestens ein Jahr nach dem Beschluss über die Nutzenbewertung nach § 7 Absatz 4 auf Antrag des pharmazeutischen Unternehmers,
6. für die der Gemeinsame Bundesausschuss über eine Nutzenbewertung mit Befristung beschlossen hat, wenn die Frist abgelaufen ist.

#### **§ 4 Dossier des pharmazeutischen Unternehmers**

(1) Das Dossier enthält Angaben über:

1. zugelassene Anwendungsgebiete,
2. medizinischer Nutzen,
3. medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie,
4. Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht,
5. Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung,
6. Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung.

(2) Das Dossier soll auch die Zulassungsnummer, das Datum der Zulassung, den Zulassungsinhaber, die Pharmazentralnummer und die Bezeichnung des Arzneimittels enthalten. Der pharmazeutische Unternehmer übermittelt dem Gemeinsamen Bundesausschuss das Dossier mit den Nachweisen für die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V elektronisch. Der Gemeinsame Bundesausschuss legt die dabei zu verwendenden technischen Standards fest und gibt Formate und Gliederung vor. Er soll sich dabei an den Standards der für die Zulassung zuständigen Bundesoberbehörde (Zulassungsbehörde) orientieren. Das Dossier soll insbesondere eine Zusammenfassung der wesentlichen Aussagen enthalten, die Grundlage für Vereinbarungen nach § 130b SGB V ist.

(3) Das Dossier ist spätestens zu folgenden Zeitpunkten zu übermitteln:

1. Für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die ab dem 1. Januar 2011 erstmals in den Verkehr gebracht werden, zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens.
2. Für Arzneimittel, die ein neues Anwendungsgebiet nach § 2 Absatz 2 erhalten, wenn für das Arzneimittel eine Nutzenbewertung nach dieser Verordnung durchgeführt wurde, zum Zeitpunkt der Zulassung des neuen Anwendungsgebietes oder zum Zeitpunkt der Unterrichtung des pharmazeutischen Unternehmers über eine Genehmigung für eine Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nummer 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) 1234/2008.
3. Für Arzneimittel, die vor dem 1. Januar 2011 in den Verkehr gebracht worden sind, innerhalb von drei Monaten nach Anforderung des Gemeinsamen Bundesausschusses.
4. Für Arzneimittel, für die bereits eine Nutzenbewertung beschlossen wurde und für die der pharmazeutische Unternehmer frühestens ein Jahr nach dem Beschluss eine erneute Nutzenbewertung beantragt hat, innerhalb von drei Monaten nach Anforderung des Gemeinsamen Bundesausschusses.
5. Für Arzneimittel, für die ein befristeter Beschluss über die Nutzenbewertung vorliegt, am Tag des Fristablaufs.

(4) Der Gemeinsame Bundesausschuss berücksichtigt nur fristgerecht eingereichte Unterlagen. Werden Unterlagen später eingereicht, werden diese in der nächst folgenden Bewertung berücksichtigt.

(5) Der pharmazeutische Unternehmer kann das Dossier dem Gemeinsamen Bundesausschuss auch vor den in Absatz 3 genannten Zeitpunkten übermitteln. Legt der pharmazeutische Unternehmer das Dossier drei Wochen vor dem jeweiligen Zeitpunkt nach Absatz 1 beim Gemeinsamen Bundesausschuss vor, führt die Geschäftsstelle des Gemeinsamen Bundesausschusses eine formale Vorprüfung auf Vollständigkeit der Unterlagen durch. Ist das Dossier unvollständig, teilt die Geschäftsstelle des Gemeinsamen Bundesausschusses dem pharmazeutischen Unternehmer in der Regel innerhalb von zwei Wochen mit, welche

zusätzlichen Angaben erforderlich sind. Die inhaltliche Prüfung des Dossiers nach § 7 Absatz 2 bleibt davon unberührt. Absatz 4 gilt entsprechend.

- (6) Für das zu bewertende Arzneimittel mit neuem Wirkstoff legt der pharmazeutische Unternehmer im Dossier den Ergebnisbericht der Zulassungsstudien einschließlich der Studienprotokolle und des Bewertungsberichtes der Zulassungsbehörde vor, sowie alle Studien, die der Zulassungsbehörde übermittelt worden sind. Darüber hinaus werden alle Ergebnisse und Studienprotokolle von Studien mit dem Arzneimittel übermittelt, für die der Unternehmer Sponsor war, sowie alle ihm verfügbaren Angaben über laufende oder abgebrochene Studien mit dem Arzneimittel, für die der Unternehmer Sponsor ist oder auf andere Weise finanziell beteiligt ist, und entsprechende Angaben über Studien von Dritten, soweit diese verfügbar sind.
- (7) Für die zweckmäßige Vergleichstherapie übermittelt der pharmazeutische Unternehmer im Dossier alle verfügbaren Ergebnisse von klinischen Studien einschließlich von Studienprotokollen, die geeignet sind, Feststellungen über den Zusatznutzen gegenüber dem zu bewertenden Arzneimittel zu treffen. Liegen keine klinischen Studien zum direkten Vergleich mit dem zu bewertenden Arzneimittel vor, sind im Dossier vollständige Angaben zu einem indirekten Vergleich zu machen.
- (8) Der pharmazeutische Unternehmer hat die Kosten für die gesetzliche Krankenversicherung gemessen am Apothekenabgabepreis und die den Krankenkassen tatsächlich entstehenden Kosten zu übermitteln. Die Angabe der Kosten erfolgt sowohl für das zu bewertende Arzneimittel als auch für die zweckmäßige Vergleichstherapie. Maßgeblich sind die direkten Kosten der gesetzlichen Krankenversicherung über einen bestimmten Zeitraum. Bestehen bei Anwendung der Arzneimittel entsprechend der Fach- und Gebrauchsinformation regelhaft Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen zwischen dem zu bewertenden Arzneimittel und der zweckmäßigen Vergleichstherapie, sind die damit verbundenen Kostenunterschiede für die Feststellung der den Krankenkassen tatsächlich entstehenden Kosten zu berücksichtigen.

## **§ 5 Zusatznutzen**

- (1) Der Zusatznutzen ist vom pharmazeutischen Unternehmer im Dossier nach § 4 nachzuweisen. Der Gemeinsame Bundesausschuss hat keine Amtsermittlungspflicht.
- (2) Für erstattungsfähige Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die pharmakologisch-therapeutisch vergleichbar mit Festbetragsarzneimitteln sind, ist der medizinische Zusatznutzen als therapeutische Verbesserung entsprechend § 35 Absatz 1b Satz 1 bis 5 SGB V nachzuweisen. Der Nachweis einer therapeutischen Verbesserung erfolgt aufgrund der Fachinformationen und durch Bewertung von klinischen Studien nach den internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin. Vorrangig sind klinische Studien, insbesondere direkte Vergleichsstudien mit anderen Arzneimitteln dieser Festbetragsgruppe mit patientenrelevanten Endpunkten, insbesondere Mortalität, Morbidität und Lebensqualität, zu berücksichtigen.
- (3) Für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die die Voraussetzungen nach Absatz 2 nicht erfüllen, erfolgt der Nachweis eines Zusatznutzens indikationsspezifisch im Vergleich zu der nach § 6 bestimmten zweckmäßigen Vergleichstherapie auf der Grundlage von Unterlagen zum Nutzen des Arzneimittels in den zugelassenen Anwendungsgebieten. Basis sind die arzneimittelrechtliche Zulassung, die behördlich genehmigten Produktinformationen sowie Bekanntmachungen von Zulassungsbehörden und die Bewertung von klinischen Studien nach den internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin. Für die erstmalige Bewertung nach § 35a SGB V zum Zeitpunkt der Markteinführung sind für die Bewertung des Arzneimittels mit neuen Wirkstoffen grundsätzlich die Zulassungsstudien zugrunde zu legen. Reichen die Zulassungsstudien nicht aus, kann der Gemeinsame Bundesausschuss weitere Nachweise verlangen. Sofern es unmöglich oder unangemessen ist, Studien höchster Evi-

denzstufe durchzuführen oder zu fordern, sind Nachweise der best verfügbaren Evidenzstufe einzureichen.

- (4) Im Dossier ist unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise darzulegen, mit welcher Wahrscheinlichkeit und in welchem Ausmaß ein Zusatznutzen vorliegt. Diese Angaben sollen sowohl bezogen auf die Anzahl der Patientinnen und Patienten als auch bezogen auf die Größe des Zusatznutzens erfolgen.
- (5) Für Arzneimittel nach Absatz 3 wird der Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie festgestellt als Verbesserung der Beeinflussung patientenrelevanter Endpunkte zum Nutzen gemäß § 2 Absatz 3. Können zum Zeitpunkt der Bewertung valide Daten zu patientenrelevanten Endpunkten noch nicht vorliegen, erfolgt die Bewertung auf Grundlage der verfügbaren Evidenz unter Berücksichtigung der Studienqualität mit Angabe der Wahrscheinlichkeit für den Beleg eines Zusatznutzens und kann eine Frist bestimmt werden, bis wann valide Daten zu patientenrelevanten Endpunkten vorgelegt werden sollen. Liegen keine direkten Vergleichsstudien für das neue Arzneimittel gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vor, können verfügbare klinische Studien für die zweckmäßige Vergleichstherapie herangezogen werden, die sich für einen indirekten Vergleich gegenüber dem Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen und somit für den Nachweis eines Zusatznutzens durch indirekten Vergleich eignen.
- (6) Die Aussagekraft der Nachweise ist unter Berücksichtigung der Studienqualität, der Validität der herangezogenen Endpunkte sowie der Evidenzstufe darzulegen und zu bewerten mit welcher Wahrscheinlichkeit und in welchem Ausmaß ein Zusatznutzen vorliegt. Im Dossier ist für alle eingereichten Unterlagen darzulegen, auf welcher Evidenzstufe diese erbracht werden. Es gelten folgende Evidenzstufen:
  1. I a Systematische Übersichtsarbeiten von Studien der Evidenzstufe Ib
  2. I b Randomisierte klinische Studien
  3. II a systematische Übersichtsarbeiten der Evidenzstufe IIb
  4. II b prospektiv vergleichende Kohortenstudien
  5. III retrospektiv vergleichende Studien
  6. IV Fallserien und andere nicht vergleichende Studien
  7. V Assoziationsbeobachtungen, pathophysiologische Überlegungen, deskriptive Darstellungen, Einzelfallberichte, nicht mit Studien belegte Meinungen anerkannter Experten, Konsensuskonferenzen und Berichte von Expertenkomitees
- (7) Für Arzneimittel nach Absatz 3 sind das Ausmaß des Zusatznutzens und die therapeutische Bedeutung des Zusatznutzens unter Berücksichtigung des Schweregrades der Erkrankung gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie wie folgt zu quantifizieren:
  1. Ein erheblicher Zusatznutzen liegt vor, wenn eine nachhaltige und gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie bisher nicht erreichte große Verbesserung des therapie relevanten Nutzens im Sinne von § 2 Absatz 3 erreicht wird, insbesondere eine Heilung der Erkrankung, erhebliche Verlängerung der Überlebensdauer, langfristige Freiheit von schwerwiegenden Symptomen oder die Vermeidung schwerwiegender Nebenwirkungen,
  2. ein bedeutsamer Zusatznutzen liegt vor, wenn eine gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie bisher nicht erreichte deutliche Verbesserung des therapie relevanten Nutzens im Sinne von § 2 Absatz 3 erreicht wird, insbesondere eine Abschwächung schwerwiegender Symptome, eine moderate Verlängerung der Lebensdauer, eine für die Patientinnen und Patienten spürbare Linderung der Erkrankung,
  3. ein geringer Zusatznutzen liegt vor, wenn eine gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie bisher nicht erreichte moderate und nicht nur geringfügige Verbesserung des therapie relevanten Nutzens im Sinne von § 2 Absatz 3 erreicht wird, insbesondere eine Verringerung von nicht schwerwiegenden Symptomen der Erkrankung.
  4. ein Zusatznutzen kann nicht quantifizierbar sein, wenn die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt,
  5. es ist kein Zusatznutzen belegbar,

6. der Nutzen des zu bewertenden Arzneimittels ist geringer als der Nutzen der zweckmäßigen Vergleichstherapie, § 7 Absatz 2 Satz 6 bleibt unberührt.

### **§ 6 Zweckmäßige Vergleichstherapie**

- (1) Die zweckmäßige Vergleichstherapie ist regelhaft zu bestimmen nach Maßstäben, die sich aus den internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin ergeben. Bei mehreren Alternativen ist die wirtschaftlichere Therapie zu wählen, vorzugsweise eine Therapie, für die ein Festbetrag gilt.
- (2) Die zweckmäßige Vergleichstherapie muss eine nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zweckmäßige Therapie im Anwendungsgebiet sein (§ 12 SGB V), vorzugsweise eine Therapie, für die Endpunktstudien vorliegen und die sich in der praktischen Anwendung bewährt hat, soweit nicht Richtlinien oder das Wirtschaftlichkeitsgebot dagegen sprechen.
- (3) Für Arzneimittel einer Wirkstoffklasse ist die gleiche zweckmäßige Vergleichstherapie heranzuziehen, um eine einheitliche Bewertung zu gewährleisten. Die zweckmäßige Vergleichstherapie muss auch geeignet sein für Bewertungen von Arzneimitteln auf Veranlassung des Gemeinsamen Bundesausschusses nach § 35a Absatz 6 SGB V, die vor dem 1. Januar 2011 in den Verkehr gebracht worden sind.

### **§ 7 Nutzenbewertung**

- (1) Der Gemeinsame Bundesausschuss führt die Nutzenbewertung durch. Grundlage dafür ist das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers nach § 4. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte mit der Nutzenbewertung beauftragen.
- (2) Mit der Nutzenbewertung wird die Validität und Vollständigkeit der Angaben im Dossier geprüft. Dabei werden die Unterlagen hinsichtlich ihrer Planungs-, Durchführungs- und Auswertungsqualität im Hinblick auf ihre Aussagekraft für Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens und hinsichtlich der Angaben zu den Therapiekosten bewertet. Die Nutzenbewertung enthält auch eine Zusammenfassung der wesentlichen Aussagen als Bewertung der Angaben im Dossier nach § 4 Absatz 1. Maßstab für die Beurteilung ist der allgemein anerkannte Stand der medizinischen Erkenntnisse. Grundlage sind die internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie. Die Bewertung darf den Feststellungen der Zulassungsbehörde über Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit des Arzneimittels nicht widersprechen. Bei der Nutzenbewertung wird geprüft, ob für das Arzneimittel ein Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie belegt ist, welcher Zusatznutzen für welche Patientengruppen in welchem Ausmaß belegt ist, wie die vorliegende Evidenz zu bewerten ist und mit welcher Wahrscheinlichkeit der Beleg jeweils erbracht wird.
- (3) Die Nutzenbewertung ist spätestens innerhalb von drei Monaten nach dem nach § 4 Absatz 3 maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und auf der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses zu veröffentlichen.
- (4) Der Gemeinsame Bundesausschuss stellt die Nutzenbewertung einschließlich der Zusammenfassung zur schriftlichen und mündlichen Anhörung. Er beschließt nach Durchführung der Anhörungen. Der Beschluss enthält die wesentlichen Ergebnisse der Nutzenbewertung und ist Teil der Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V. Der Beschluss ist innerhalb von drei Monaten nach Veröffentlichung der Nutzenbewertung zu fassen. Der Beschluss ist Grundlage für Vereinbarungen nach § 130b SGB V über Erstattungsbeträge und für die Bestimmung von Anforderungen an die Zweckmäßigkeit, Qualität und Wirtschaftlichkeit der Verordnung sowie für die Anerkennung als Praxisbesonderheit oder für die Zuordnung von Arzneimitteln ohne Zusatznutzen zu einer Festbetragsgruppe nach § 35 SGB V.

## **§ 8 Beratung**

- (1) Der Gemeinsame Bundesausschuss berät den pharmazeutischen Unternehmer aufgrund einer Anforderung auf Grundlage der eingereichten Unterlagen nach Absatz 2. Die Beratung wird durch die Geschäftsstelle des Gemeinsamen Bundesausschusses durchgeführt, sofern er nichts anderes beschließt. Die Beratung kann bereits vor Beginn von Zulassungsstudien der Phase drei und unter Beteiligung des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte oder des Paul-Ehrlich-Instituts stattfinden. Der pharmazeutische Unternehmer erhält eine Niederschrift über das Beratungsgespräch.
- (2) Der pharmazeutische Unternehmer übermittelt dem Gemeinsamen Bundesausschuss mit der Anforderung einer Beratung die für die Erstellung eines Dossiers bedeutsamen Unterlagen und Informationen, über die er zu diesem Zeitpunkt verfügt. Gegenstand der Beratung sind insbesondere die für die Nutzenbewertung vorzulegenden Unterlagen und Studien sowie die zweckmäßige Vergleichstherapie. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann hierüber Vereinbarungen mit dem pharmazeutischen Unternehmer treffen. Der Gemeinsame Bundesausschuss führt die Beratung innerhalb von 8 Wochen nach Einreichen der Unterlagen durch.
- (3) Die Frist für die Einreichung eines Dossiers nach § 4 Absatz 3 gilt unbeschadet der Beratung. Der Anspruch auf Beratung erlischt mit Verstreichen des Zeitpunktes nach § 4 Absatz 3 und mit der Einreichung des Dossiers.

## **§ 9 Offenlegung**

- (1) Das Dossier wird gleichzeitig mit der Nutzenbewertung nach § 7 Absatz 2 Satz 6 auf der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses veröffentlicht, sofern nicht Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse, Bestimmungen des Urheberrechts oder der Schutz personenbezogener Daten dagegen sprechen. Die Veröffentlichung enthält die Grundlagen, auf die sich die Bewertung stützt.
- (2) Der pharmazeutische Unternehmer kennzeichnet Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse im Dossier. Diese Kennzeichnung darf der Pflicht zur Offenlegung der Studienergebnisse nicht entgegenstehen.
- (3) Der Gemeinsame Bundesausschuss kann mit den maßgeblichen Verbänden der pharmazeutischen Industrie und mit pharmazeutischen Unternehmern das Nähere durch Vereinbarung regeln.

## **§ 10 Übergangsregelungen**

- (1) Für bis zum 31. Juli 2011 einzureichende Dossiers berät der Gemeinsame Bundesausschuss den pharmazeutischen Unternehmer abweichend von § 8 Absatz 3 über Inhalt und Vollständigkeit des Dossiers. Er kann damit das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte beauftragen. Ist das Dossier inhaltlich unzureichend, teilt der Gemeinsame Bundesausschuss dem pharmazeutischen Unternehmer in der Regel innerhalb von drei Monaten mit, welche zusätzlichen Angaben erforderlich sind.
- (2) Der pharmazeutische Unternehmer hat dem Gemeinsamen Bundesausschuss das überarbeitete Dossier innerhalb von drei Monaten nach der Mitteilung des Gemeinsamen Bundesausschusses nach Absatz 1 vorzulegen; § 4 Absatz 4 gilt entsprechend. Der Zeitpunkt der erneuten Vorlage des Dossiers ist für die Frist zum Abschluss der Nutzenbewertung nach § 7 Absatz 3 maßgeblich.

**§ 11 Inkrafttreten**

Diese Verordnung tritt am 1. Januar 2011 in Kraft.

## **Begründung**

### **A. Allgemeiner Teil**

Mit dem Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarkts wurde in § 35a SGB V eine Nutzenbewertung für Arzneimittel als Grundlage für Vereinbarungen von Erstattungsbeträgen nach § 130b SGB V eingeführt. Hiermit soll dem überproportionalen Anstieg von Kosten insbesondere für Arzneimittel begegnet werden, die noch nicht von Festbeträgen nach § 35 SGB V erfasst werden. Die besten und wirksamsten Arzneimittel sollen den Patienten weiterhin ohne Verzögerung zur Verfügung stehen. Die Preise und Verordnungen sollen wirtschaftlich und kosteneffizient sein. Allen Beteiligten sollen verlässliche Rahmenbedingungen zur Verfügung gestellt werden.

Mit der Verordnung werden die Maßstäbe der Nutzenbewertung näher bestimmt. Es wird sowohl dem Gemeinsamen Bundesausschuss als auch den pharmazeutischen Unternehmen eine rechtssichere und tragfähige Grundlage für das neu eingeführte Verfahren der schnellen Nutzenbewertung zur Verfügung gestellt, so dass eine zügige Umsetzung dieses Verfahrens gewährleistet wird. Für die Unternehmer wird die notwendige Planungssicherheit hergestellt. Die Verordnung regelt insbesondere Grundsätze für die Bewertung des Nutzens, die für die Bewertung einzureichenden Unterlagen und für die Bestimmung der Vergleichstherapie. Es werden zudem Übergangsregelungen für die Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen getroffen, die bis zum 31. Juli 2011 erstmals in den Verkehr gebracht werden.

Die Rechtsverordnung ergeht ohne Zustimmung des Bundesrats.

Zu den finanziellen Auswirkungen auf die öffentlichen Haushalte, den sonstigen Kosten und Bürokratiekosten wird auf die Ausführungen in der Begründung zum Entwurf des Gesetzes zur Neuordnung des Arzneimittelmarkts in der gesetzlichen Krankenversicherung (BT-Drs. 17/2413) Bezug genommen.

Der Verordnungsentwurf erreicht die Ziele der nationalen Nachhaltigkeitsstrategie. Durch die Nutzenbewertung in Verbindung mit der Vereinbarung von Erstattungsbeträgen wird die gesetzliche Krankenversicherung dauerhaft um rd. 2 Mrd. Euro entlastet und die private Krankenversicherung sowie die Beihilfeträger um insgesamt rd. 200 Mio. Euro pro Jahr. Die Nutzenbewertung verbessert zudem die Transparenz über den Zusatznutzen von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen und trägt damit nachhaltig zur Vermeidung von Gefahren und Risiken bei der Anwendung neuer Arzneimittel bei.

Das Vorhaben ist mit EU-Recht vereinbar.

Das Vorhaben hat keine Relevanz für die Gleichstellung von Frau und Mann.

### **B. Besonderer Teil**

#### **Zu § 1**

Das Bundesministerium für Gesundheit regelt das Nähere zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen durch Rechtsverordnung ohne Zustimmung des Bundesrats (§ 35a Absatz 1 Sätze 6 bis 8 SGB V). Danach ist in der Rechtsverordnung unter anderem zu regeln, dass die Nutzenbewertung auf Grundlage der internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie durchgeführt wird. Dabei soll der frühe Zeitpunkt der Bewertung berücksichtigt werden. Weitere Einzelheiten soll der Gemeinsame Bundesausschuss auf der Grundlage der Rechtsverordnung in seiner Verfahrensordnung regeln. Damit bleibt es möglich, Einzelfragen zum Verfahren und zur Bewertung im Rahmen der Verfahrensordnung Rechnung tragen zu können.

Die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V erfolgt für ein einzelnes Arzneimittel. Darin unterscheidet sie sich von der Nutzenbewertung nach § 139a Absatz 3 Satz 1 Nr. 5 SGB V und der

Kosten-Nutzenbewertung nach § 35b SGB V. Diese Bewertungen vergleichen eine Mehrzahl von Arzneimitteln mit vergleichbaren Anwendungsgebiet miteinander.

## Zu § 2

### Zu Absatz 1

Neue Wirkstoffe im Sinne dieser Vorschrift sind Wirkstoffe, die erstmals als Arzneimittel zugelassen wurden und deren Wirkungen bei der erstmaligen Zulassung durch die zuständige Bundesoberbehörde oder der Genehmigung durch die Europäische Kommission in der medizinischen Wissenschaft nicht allgemein bekannt sind und die daher der Verschreibungspflicht unterliegen (§ 48 Absatz 1 Satz 1 Nr. 3 Arzneimittelgesetz – AMG – sowie die Verordnung EG 726/2004). Die Neuregelung gilt damit beispielsweise nicht für Generika oder sonstige Arzneimittel mit Wirkstoffen, deren Wirkungen der medizinischen Wissenschaft allgemein bekannt ist. Gegenstand der Nutzenbewertung sind auch die Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen die auf Basis eines gestatteten Verwertungsrechtes vor Ablauf des Unterlagenschutzes erteilt werden.

### Zu Absatz 2

Ein neues Anwendungsgebiet liegt vor, wenn dafür eine neue Zulassung nach § 29 Absatz 3 AMG für nationale Zulassungen beantragt werden muss oder wenn es sich um eine genehmigungspflichtige Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nr. 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) 1234/2008 handelt.

Das ist z.B. der Fall, wenn das Anwendungsgebiet sich auf einen Patientenkreis bezieht, der von bereits zugelassenen Anwendungsgebieten abweicht, wenn eine Indikation hinzugefügt wird, die einem anderen therapeutischen Bereich zuzurechnen ist oder wenn die Indikation in einen anderen therapeutischen Bereich (Behandlung, Diagnose oder Prophylaxe) verlagert wird.

### Zu Absatz 3

Der Nutzenbegriff entspricht der Begriffsbestimmung in § 35b SGB V Sozialgesetzbuch in der zuletzt vor dem Inkrafttreten des AMNOG geltenden Fassung.

### Zu Absatz 4

Der Zusatznutzen ergibt sich durch den Vergleich des Nutzens des Arzneimittels mit neuen Wirkstoffen mit dem Nutzen der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

### Zu Absatz 5

Die Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie ergibt sich aus den Vorschriften zu § 6.

## Zu § 3

Nutzenbewertungen werden für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen durchgeführt, die ab dem 1. Januar 2011 erstmals in den Verkehr gebracht werden oder für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die vor diesem Zeitpunkt in den Verkehr gebracht worden sind, sofern der Gemeinsame Bundesausschuss dies veranlasst.

Wird für ein Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, das ab dem 1. Januar 2011 erstmals in den Verkehr gebracht worden ist, ein weiteres Anwendungsgebiet zugelassen, ist hierfür ein Dossier vorzulegen. Dies gilt auch für neue Anwendungsgebiete für die eine Genehmigung für eine Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nr. 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) 1234/2008 erteilt wird oder als erteilt gilt. Da die Vereinbarung des Erstattungsbetrages nach § 130b SGB V auf Grundlage einer Nutzenbewertung für die zugelassenen Anwendungsgebiete erfolgt, ist bei einer Zulassungserweiterung eine erneute Nutzenbewertung sowie eine Anpassung der Erstattungsvereinbarung erforderlich.

Für ein Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, das vor dem 1. Januar 2011 in den Verkehr gebracht worden ist, ist bei Zulassung eines weiteren Anwendungsgebietes hierfür ein Dossier vorzulegen, wenn der Gemeinsame Bundesausschuss für dieses Arzneimittel bereits eine Nutzenbewertung veranlasst hat. Es ist Aufgabe der Vertragsparteien, in der Vereinbarung des Erstattungsbetrages nach § 130b SGB V die Zulassungserweiterung zu berücksichtigen.

Der Gemeinsame Bundesausschuss soll Nutzenbewertungen vorzugsweise für Arzneimittel veranlassen oder durchführen, die für die Versorgung bedeutsam sind. Dabei sind insbesondere die Anzahl der Patientinnen und Patienten, die Kosten für die gesetzliche Krankenversicherung sowie die Qualität der Versorgung zu berücksichtigen. Insbesondere soll der Nutzen von Arzneimitteln bewertet werden, die im Wettbewerb mit Arzneimitteln stehen, für die bereits Nutzenbewertungen beschlossen sind. Dies können z.B. Arzneimittel mit gleichem Anwendungsgebiet sein, um eine Gleichbehandlung dieser Arzneimittel zu gewährleisten. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann die Nutzenbewertung befristen. Das kann z.B. dann sinnvoll sein, wenn sich der medizinische Erkenntnisstand in absehbarer Zeit ändert. Nach Ablauf der Frist ist dann eine Neubewertung erforderlich.

#### Zu § 4

##### Zu Absatz 1

Die mit dem Dossier zu übermittelnden Angaben sind in § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V vorgegeben.

##### Zu Absatz 2

Das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers ist der erste Verfahrensschritt für die Erstellung der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V. Darin belegt der pharmazeutische Unternehmer den Nutzen und Zusatznutzen des Arzneimittels. Dieses Dossier wird vom Gemeinsamen Bundesausschuss oder in dessen Auftrag vom Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder von Dritten überprüft und bewertet und als Nutzenbewertung veröffentlicht. Der Gemeinsame Bundesausschuss beschließt die Nutzenbewertung.

Der Aufwand für pharmazeutische Unternehmen und den Gemeinsamen Bundesausschuss wird begrenzt durch Standards für die Form, Inhalt und Gliederung des Dossiers. Der Gemeinsame Bundesausschuss legt das Nähere in der Verfahrensordnung fest.

Die Bestimmungen der technischen Standards, der Formate und der Gliederung sollen so konkret wie möglich sein. Um eine einheitliche Einreichung des Dossiers zur Erleichterung für den G-BA und den pharmazeutischen Unternehmer zu gewährleisten, sollten dabei sowohl Formate als auch Aufbau, Gliederung, Schriftart, Schriftgrad, Zeilenabstand, etc. in Form einer dezidierten Anleitung veröffentlicht werden. Die technischen Standards für die elektronische Einreichung sollen in Anlehnung an die Standards der Zulassungsbehörden festgelegt werden.

##### Zu Absatz 3

Der pharmazeutische Unternehmer reicht das Dossier spätestens zur Markteinführung ein. Als maßgeblicher Zeitpunkt für das erstmalige Inverkehrbringen gilt die Aufnahme des Arzneimittels

in die maßgebliche Produkt- und Preisdatenbank aufgrund der Meldung des pharmazeutischen Unternehmers. Der Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens muss auch der zuständigen Bundesoberbehörde nach § 29 Absatz 1b AMG gemeldet werden. Bei Zulassung eines neuen Anwendungsgebiets für ein Arzneimittel, für das der Gemeinsame Bundesausschuss bereits eine Nutzenbewertung veranlasst oder durchgeführt hat, reicht der pharmazeutische Unternehmer ein Dossier spätestens zum Zeitpunkt der Zulassung des neuen Anwendungsgebietes ein. Bei Änderungen des Typs 2 nach Anhang 2 Nummer 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) 1234/2008 ist der Zeitpunkt der Unterrichtung des pharmazeutischen Unternehmers maßgeblich. Ist die Geltung des Beschlusses über die Nutzenbewertung befristet, hat der pharmazeutische Unternehmer nach Ablauf der Frist erneut ein Dossier vorzulegen.

#### Zu Absatz 4

Belege, die nicht fristgerecht eingereicht sind, sind nicht Gegenstand der Bewertung. Reicht der pharmazeutische Unternehmer innerhalb der Frist kein Dossier oder ein unvollständiges Dossier ein, gilt der Zusatznutzen als nicht gegeben. Er kann frühestens ein Jahr nach der Feststellung über den Zusatznutzen einen Antrag auf Neubewertung stellen. Werden Unterlagen nach Fristablauf eingereicht, können diese in der Regel erst für die nächst folgenden Bewertungen berücksichtigt werden, das heißt frühestens ein Jahr nach Veröffentlichung der Nutzenbewertung, es sei denn, dass eine sachgerechte Bewertung innerhalb der Frist für die Nutzenbewertung möglich ist.

#### Zu Absatz 5

Der pharmazeutische Unternehmer kann das Dossier auch vor Ablauf der Frist einreichen. Erfolgt die Einreichung mindestens drei Wochen vor Fristablauf, führt der Gemeinsame Bundesausschuss eine Vorprüfung des Dossiers auf Vollständigkeit der Unterlagen durch. Der pharmazeutische Unternehmer erhält die Möglichkeit, die fehlenden Unterlagen bis zum Ablauf der Frist für die Einreichung des Dossiers nachzureichen. Eine inhaltliche Prüfung des Dossiers bleibt davon unberührt. Das trägt zur Beschleunigung des Verfahrens bei. Der pharmazeutische Unternehmer bekommt eine formale Vollständigkeitsprüfung, im Gegenzug liegen dem Gemeinsamen Bundesausschuss die Unterlagen bereits frühzeitig vor.

#### Zu Absatz 6

Die Angaben im Dossier sind durch entsprechende wissenschaftliche Nachweise so zu belegen, dass sie durch den Gemeinsame Bundesausschuss oder in dessen Auftrag vom Institut für Wirtschaftlichkeit und Qualität im Gesundheitswesen oder von beauftragten Dritten überprüft werden können. Die zu übermittelnden Angaben umfassen insbesondere die klinischen Studien einschließlich aller relevanten medizinischen Ergebnisse sowie weiterer wissenschaftlicher Literatur. Um sicherzustellen, dass das für die Bewertung relevante wissenschaftliche Erkenntnis-materials vollständig erfasst wurde, soll vom pharmazeutischen Unternehmer eine systematische Literaturrecherche durchgeführt werden. Bei der Darstellung von Studienergebnissen entspricht es internationalen Standards, wenn Größe und Präzision des Effekts dargestellt und die Ergebnisse sowohl aggregiert als auch einzeln angegeben werden. Nur so kann die Relevanz der einzelnen und der aggregierten Studienergebnisse beurteilt werden.

Die Pflicht zur Vorlage des Bewertungsberichtes der Zulassungsbehörde entfällt, wenn die Behörde keinen entsprechenden Bericht erstellt hat.

#### Zu Absatz 7

Für das zu bewertende Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen sind zum Nachweis des Nutzens und des Zusatznutzens die Zulassungsstudien einzureichen. Es kann vorkommen, dass die Zulas-

sungsstudien für die Bewertung nicht ausreichen. Gründe dafür können zum Beispiel sein, dass die Zulassungsstudien nur auf eine Prüfung der Nicht-Unterlegenheit ausgerichtet waren und nicht auf den Nachweis eines Zusatznutzens oder dass der Komparator der Zulassungsstudien nicht der zweckmäßigen Vergleichstherapie entspricht, die vom Gemeinsamen Bundesausschuss festgelegt worden ist. In diesem Fall ist es nicht ausnahmslos erforderlich, dass der pharmazeutische Unternehmer zusätzliche Studien durchführt, wenn der Nachweis eines Zusatznutzens auf andere methodisch zulässige Weise erbracht werden kann. Liegen z.B. keine direkt vergleichenden Studien zwischen dem Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen und der zweckmäßigen Vergleichstherapie vor, können auch andere, bereits verfügbare Studien zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt werden, soweit diese einen indirekten Vergleich mit dem Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen und somit Aussagen über den Zusatznutzen auf methodisch zulässige Weise erlauben. Auch in diesem Falle ist der pharmazeutische Unternehmer verpflichtet, vollständige Angaben zu übermitteln, damit negative Studienergebnisse ebenso in die Bewertung einfließen wie positive Studienergebnisse.

#### Zu Absatz 8

Im Dossier sind auch Angaben zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung zu übermitteln. Angaben zum patientenrelevanten Nutzen werden bei den Therapiekosten nicht berücksichtigt. Die Kosten sind für einen bestimmten Zeitraum anzugeben. Der Zeitraum soll im Hinblick auf die Dauer der Therapie sinnvoll sein. So ist z.B. die Angabe von Jahrestherapiekosten nicht sinnvoll, wenn das Arzneimittel nur einmal angewendet wird. Nach frühestens einem Jahr kann die Bewertung erneut durchgeführt werden, insofern ist eine Angabe über die Jahrestherapiekosten hinaus in der Regel nicht sinnvoll und auch nicht notwendig. Die Kosten sollten sowohl für die einzelne Patientin oder den einzelnen Patienten als auch für alle Patientinnen und Patienten, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht, angegeben werden.

#### Zu § 5

##### Zu Absatz 1

Der pharmazeutische Unternehmer trägt die Beweislast für den Nachweis des Zusatznutzens. Dies ist zumutbar, da ihm als Anbieter alle relevanten Informationen über den Nutzen des Arzneimittels bekannt sind oder bekannt sein sollten. Der pharmazeutische Unternehmer hat den Zusatznutzen seines Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen. Diese Nachweise werden vom Gemeinsamen Bundesausschuss überprüft. Der Gemeinsame Bundesausschuss, das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder vom Gemeinsamen Bundesausschuss beauftragte Dritte sind nicht verpflichtet, eigene Literaturrecherchen durchzuführen und dadurch zusätzliche Belege zu ermitteln, haben also keine Amtsermittlungspflicht. Das schließt nicht aus, dass sich bei der Bewertung herausstellt, dass die vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegten Unterlagen nicht vollständig sind.

##### Zu Absatz 2

Für Arzneimittel mit Wirkstoffen, die pharmakologisch-therapeutisch vergleichbar mit Festbetragsarzneimitteln sind, gelten für den Nachweis des Zusatznutzens die Anforderungen für den Nachweis einer therapeutischen Verbesserung wie bisher bei der Festbetragsgruppenbildung (entsprechend § 35 Absatz 1b Satz 1 bis 5 SGB V). Der Nachweis der therapeutischen Verbesserung ist insbesondere durch Endpunktstudien zu erbringen. Auf Grund der besonderen Sachlage bei pharmakologisch-therapeutisch vergleichbaren Wirkstoffen gilt die widerlegliche Vermutung, dass diese Molekülvariationen in eine Festbetragsgruppe einbezogen werden können, sofern der pharmazeutische Unternehmer die therapeutische Verbesserung nicht mit hochwertigen Daten zu patientenrelevanten Endpunkten belegen kann.

#### Zu Absatz 3

Für Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen erfolgt der Nachweis des Zusatznutzens durch wissenschaftliche Unterlagen hoher Qualität, die Aussagen über das Ausmaß der Beeinflussung patientenrelevanter Endpunkte zulassen. Als patientenrelevante Endpunkten sind insbesondere die Verbesserung des Gesundheitszustandes, eine Verkürzung der Krankheitsdauer, eine Verlängerung der Lebensdauer, eine Verringerung der Nebenwirkungen sowie eine Verbesserung der Lebensqualität zu berücksichtigen.

Für die erste Bewertung nach der Markteinführung wird regelmäßig nur gefordert, die Zulassungsstudien als Nachweis einzureichen. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann Empfehlungen für Nachweise in seiner Verfahrensordnung festlegen. Dies können insbesondere die Phase-III-Studien des Zulassungsverfahrens sein, die gegebenenfalls in Abstimmung mit dem Gemeinsamen Bundesausschuss beziehungsweise dem Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen um weitere Studien ergänzt werden.

#### Zu Absatz 4

Der pharmazeutische Unternehmer ist verpflichtet, die Belege über den Zusatznutzen im Hinblick auf ihre Aussagekraft für den Zusatznutzen zu bewerten. Grundsätzlich hat der pharmazeutische Unternehmer anzugeben, mit welcher Wahrscheinlichkeit die vorgelegten Unterlagen einen Zusatznutzen bezogen auf patientenrelevante Endpunkte belegen, wie bedeutsam der Zusatznutzen für die Therapie ist, für wie viele Patientinnen und Patienten ggfs. in Subgruppen des Anwendungsgebiets ein Zusatznutzen besteht, und welches Ausmaß dieser Zusatznutzen hat.

#### Zu Absatz 5

Zum Zeitpunkt der Zulassung liegen oftmals noch keine Endpunktstudien und keine direkt vergleichenden Studien zur maßgeblichen zweckmäßigen Vergleichstherapie vor. Zur Berücksichtigung des frühen Zeitpunktes der Bewertung sind daher für die Beurteilung des Zusatznutzens auch indirekte Vergleiche heranzuziehen. Dementsprechend sollen die Ergebnisse aus klinischen Studien für das Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen mit den Ergebnissen verfügbarer klinischer Studien für die zweckmäßige Vergleichstherapie verglichen werden (indirekter Studienvergleich) soweit nach den Grundsätzen der evidenzbasierten Medizin methodisch zulässig ist. Dieses Verfahren stellt keine unzumutbaren Anforderungen an den pharmazeutischen Unternehmer. Insbesondere sind pharmazeutische Unternehmer nicht verpflichtet, regelhaft direkte Vergleichstudien für das Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie durchzuführen, wenn dieser Vergleich durch indirekte Vergleiche mit bereits verfügbaren Studien valide möglich ist.

#### Zu Absatz 6

Die Aussagekraft der Nachweise muss bewertet werden. Ob und in welchem Maße wissenschaftliche Literatur und Studien für den Zusatznutzen aussagekräftig ist, hängt insbesondere von der Qualität der Studie und der Validität der herangezogenen Endpunkte ab. Diese müssen bewertet werden, die Bewertung muss gegebenenfalls zusätzlich durch weitere Literatur gestützt werden. Wichtig zur Beurteilung der Aussagekraft von Nachweisen ist zudem die Evidenzstufe. Die Bestimmung der Evidenzstufen in dieser Verordnung entspricht dem internationalen Stand der evidenzbasierten Medizin. Vor dem Hintergrund dieser Bewertungen ist anzugeben, mit welcher Wahrscheinlichkeit der Zusatznutzen belegt ist. Insgesamt ist transparent darzulegen, mit welcher Wahrscheinlichkeit und in welchem Ausmaß ein Zusatznutzen bezogen auf die Anzahl der Patientinnen und Patienten, und auf die Größe des therapeutischen Effekts vorliegt.

#### Zu Absatz 7

Zusätzlich soll bei der Bewertung des Zusatznutzens eine Bestimmung des Ausmaßes des Zusatznutzens und der therapeutischen Bedeutung des Zusatznutzens erfolgen, wie zum Beispiel die Angabe, ob ein geringer, bedeutsamer, erheblicher oder nicht quantifizierbarer Zusatznutzen besteht. Eine solche Quantifizierung des Zusatznutzens wird bereits in anderen europäischen Ländern wie Frankreich praktiziert. Sie hat Auswirkungen auf die Verhandlungsgrundlage über den Erstattungsbetrag. Der pharmazeutische Unternehmer hat die vorgenommene Einstufung bereits im Dossier vorzunehmen.

Die Quantifizierung des Zusatznutzens erfolgt anhand von Stufen für das Ausmaß des Zusatznutzens. Für die Zuordnung zu diesen Stufen werden Regeln vorgegeben. Es ist eine Gesamtbewertung maßgeblich, in die alle Nutzenaspekte einfließen. Dazu gehören auch Art, Häufigkeit und therapeutische Relevanz der Nebenwirkungen.

Ist der Komparator der Zulassungsstudie identisch mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ist durch die Zulassung sichergestellt, dass das zu bewertende Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen der zweckmäßigen Vergleichstherapie nicht unterlegen ist.

Sind Vergleichstherapie und Komparator der Zulassungsstudie nicht identisch, kann der Nutzen des zu bewertenden Arzneimittels mit neuen Wirkstoffen ggfs. geringer sein als der Nutzen der zweckmäßigen Vergleichstherapie

#### Zu § 6

##### Zu Absatz 1 und 2

Zweckmäßige Vergleichstherapie ist diejenige Behandlung, die nach dem anerkannten Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis in einer Indikation zweckmäßig und wirtschaftlich ist (§ 12 SGB V). Der Gemeinsame Bundesausschuss legt die zweckmäßige Vergleichstherapie in jedem Einzelfall fest. Er soll dabei insbesondere die Eignung eines Festbetragsarzneimittels als zweckmäßige Vergleichstherapie prüfen.

##### Zu Absatz 3

Zur Gewährleistung der Gleichbehandlung von Arzneimitteln einer Wirkstoffklasse mit gleichem Anwendungsgebiet soll die gleiche zweckmäßige Vergleichstherapie verwendet werden. Das ist auch wichtig für den Bestandsmarkt, da nicht auszuschließen ist, dass bereits weitere Arzneimittel einer Wirkstoffklasse auf dem Markt sind, wenn ein neuer Wirkstoff nach dem 1. Januar 2011 zugelassen wird.

#### Zu § 7

##### Zu Absatz 1

Grundlage der Nutzenbewertung ist ein Dossier des pharmazeutischen Unternehmers. Er hat den Zusatznutzen seines Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen. Diese Nachweise werden vom Gemeinsamen Bundesausschuss überprüft. Er ist Herr des Verfahrens, kann aber das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte beauftragen.

##### Zu Absatz 2

Die Nutzenbewertung ist eine wissenschaftliche Begutachtung zur Zweckmäßigkeit eines Arzneimittels (§ 12 SGB V) und beschreibt, welchen therapierelevanten medizinischen Nutzen ein

Arzneimittel bei Anwendung in einem bestimmten Indikationsgebiet für bestimmte Gruppen von Patientinnen und Patienten hat. Dabei erfolgt eine Einstufung des Arzneimittels danach, für wie viele Patientinnen und Patienten und für welche Patientengruppen im Anwendungsgebiet ein Zusatznutzen besteht und wie hoch dieser ist im Vergleich zu bestehenden Therapiealternativen.

Bei der erstmaligen Nutzenbewertung zur Markteinführung eines Arzneimittels mit neuen Wirkstoffen ist der frühe Zeitpunkt der Bewertung zu berücksichtigen.

In der Nutzenbewertung kann angegeben werden, welcher zusätzliche Erkenntnisbedarf besteht und zu welchem Zeitpunkt eine erneute Nutzenbewertung erforderlich ist.

#### Zu Absatz 3

Die Nutzenbewertung soll innerhalb von 3 Monaten durchgeführt und veröffentlicht werden. So sieht es bereits das Gesetz vor.

#### Zu Absatz 4

Der Beschluss über die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 3 SGB V ist Grundlage für Vereinbarungen nach § 130b Absatz 1 SGB V. Diese Vereinbarungen umfassen die Erstattungsbeiträge und die Anforderungen an Qualität, Zweckmäßigkeit und Wirtschaftlichkeit einer Verordnung sowie die Voraussetzungen für die Anerkennung als Praxisbesonderheit (§ 130b Absatz 2 SGB V). Die Vereinbarung nach § 130b SGB V darf nicht in Widerspruch zu den Feststellungen im Beschluss, z.B. über den Nutzen und die Anwendungsvoraussetzungen stehen.

Der Beschluss über die Nutzenbewertung ist eine Feststellung über die Zweckmäßigkeit des Arzneimittels im Sinne des § 12 SGB V und entfaltet daher Wirkung für den Vertragsarzt bei der Verordnung. Vertragsärztinnen und Vertragsärzten soll aber nicht die Kenntnis aller Einzelheiten der Nutzenbewertung zugemutet werden. Daher soll der Gemeinsame Bundesausschuss in seinem Beschluss ausdrücklich klarstellen, welche Feststellungen bei der Verordnung zu beachten und daher Teil der Arzneimittelrichtlinien sind.

#### Zu § 8

##### Zu Absatz 1

Pharmazeutische Unternehmer erhalten die Möglichkeit einer frühzeitigen wissenschaftlichen und verfahrenstechnischen Beratung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss. Die Beratung kann bereits stattfinden, bevor der pharmazeutische Unternehmer seine Zulassungsstudien durchführt. So besteht die Möglichkeit, dass für den Gemeinsamen Bundesausschuss wichtige Aspekte bereits bei der Durchführung der Zulassungsstudien berücksichtigt werden. Hierdurch kann der Gemeinsame Bundesausschuss zudem bereits im Zulassungsverfahren frühzeitig Informationen erhalten. Der Gemeinsame Bundesausschuss kann mit dem pharmazeutischen Unternehmer vereinbaren, dass der Informationsaustausch frühzeitig und elektronisch nach einheitlichem Standard erfolgt. Der pharmazeutische Unternehmer erhält eine Niederschrift über das Ergebnis der Beratung.

##### Zu Absatz 2

Im Rahmen der Beratung erteilt der Gemeinsame Bundesausschuss allgemeine Auskünfte über das Verfahren und berät zu konkreten Inhalten der vorzulegenden Nachweise und zum Ablauf des Verfahrens. Dabei können Fragen beispielsweise zur zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu Endpunkten und zu geeigneten Studiendesigns zum Nachweis eines Zusatznutzens erörtert werden. Der Gemeinsame Bundesausschuss informiert den pharmazeutischen Unternehmer auf dessen Anforderung vor der Erstellung des Dossiers über die maßgebliche Vergleichsthe-

rapie. Dadurch ist gewährleistet, dass der pharmazeutische Unternehmer das Dossier zielgerichtet und sachgerecht erstellen kann.

Von der Benennung der zweckmäßigen Vergleichstherapie kann nur aufgrund außergewöhnlicher Umstände noch abgewichen werden, z.B. wenn sich das Zulassungsverfahren verzögert oder die Markteinführung verzögert erfolgt und sich der medizinische Erkenntnisstand ändert.

Der Gemeinsame Bundesausschuss kann mit dem pharmazeutischen Unternehmer eine Vereinbarung über die Inhalte der Beratung treffen. Ziel der Regelung ist, das Verfahren effizienter und schneller zu gestalten.

#### Zu Absatz 3

Der pharmazeutische Unternehmer entscheidet über den Zeitpunkt der Beratung. Er entscheidet auch über die Markteinführung seines Arzneimittels. Deshalb ist der Unternehmer selbst dafür verantwortlich die Beratung rechtzeitig zu verlangen, so dass ein fristgerechtes Einreichen des Dossiers möglich ist.

#### Zu § 9

##### Zu Absatz 1

Die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 2 SGB V wird auf der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses veröffentlicht. Damit werden die wesentlichen Grundlagen, auf die sich die Bewertung stützt, öffentlich zugänglich gemacht. Der Gemeinsame Bundesausschuss hat Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse zu wahren. Er muss bei der Veröffentlichung die Bestimmungen des Urheberrechts beachten und den Schutz personenbezogener Daten zu beachten. Der Gemeinsame Bundesausschuss oder die von ihm mit der Nutzenbewertung Beauftragten erhalten Einsichtnahme in alle Studiendaten. Dabei ist den datenschutzrechtlichen Vorgaben der Richtlinie 2001/20/EG, des Bundesdatenschutzgesetzes und der § 40 ff. AMG Rechnung zu tragen.

##### Zu Absatz 2

Der Gemeinsamen Bundesausschusses prüft nach pflichtgemäßem Ermessen, ob die Darlegungen des pharmazeutischen Unternehmers zu Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse vereinbar sind mit der Pflicht zur Offenlegung der Studienergebnisse. Studienmethodik und Studienergebnisse stellen keine Betriebs- und Geschäftsgeheimnisse dar. Pharmazeutische Hersteller sind bereits durch § 42b AMG zur Offenlegung dieser Daten verpflichtet.

##### Zu Absatz 3

Der Gemeinsame Bundesausschuss kann eine Vereinbarung zu vertraulichen Daten mit den maßgeblichen Verbänden der pharmazeutischen Industrie abschließen.

#### Zu § 10

##### Zu Absatz 1

Bis zum 31. Juli 2011 einzureichende Dossiers werden vom Gemeinsamen Bundesausschuss gesondert geprüft. Er kann damit das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen oder Dritte beauftragen. Der Gemeinsame Bundesausschuss räumt dem pharmazeutischen Unternehmer eine Frist zur Nachbesserung des Dossiers ein. Damit wird dem Umstand Rechnung getragen, dass der pharmazeutische Unternehmer die Anforderungen an das Dossier nicht rechtzeitig vor Markteinführung seines neuen Arzneimittels kennen kann, weil die

Verordnung erst am 1. Januar 2011 in Kraft tritt. Die ergänzenden Bestimmungen in der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses werden erstmals innerhalb eines Monats nach Inkrafttreten der Rechtsverordnung bekannt. Deshalb wird dem pharmazeutischen Unternehmer in einer Übergangsfrist eine Sonderstellung eingeräumt. Dieses gilt auch, wenn der Unternehmer das Dossier aufgrund einer Aufforderung des Gemeinsamen Bundesausschusses nach § 35a Absatz 6 in Verbindung mit Absatz 5 Satz 3 einzureichen hat.

Zu Absatz 2

Der pharmazeutische Unternehmer erhält eine angemessene Frist von drei Monaten für die Überarbeitung des Dossiers. Hierdurch wird die Geltung eines durch Schiedsspruch festgesetzten Erstattungsbetrags ab dem 13. Monat nach dem in § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V genannten Zeitpunkt nicht berührt.

Zu § 11

Die Vorschrift regelt das Inkrafttreten der Rechtsverordnung.