

# Referentenentwurf

## des Bundesministeriums für Gesundheit

### Erste Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung

#### A. Problem und Ziel

Mit der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1), die am 23. Dezember 2021 in Kraft getreten ist, wurde eine rechtliche Grundlage für die gemeinsame Bewertung von Gesundheitstechnologien auf Ebene der Europäischen Union (EU) geschaffen. Ab 12. Januar 2024 unterliegen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen zur Behandlung von Krebs sowie Arzneimittel für neuartige Therapien der gemeinsamen klinischen Bewertung, ab 13. Januar 2028 zusätzlich (sonstige) Arzneimittel für seltene Leiden und ab 13. Januar 2030 schließlich sämtliche Arzneimittel im zentralen Zulassungsverfahren. Der Gemeinsame Bundesausschuss und das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen sind als Mitglieder der Koordinierungsgruppe der Mitgliedstaaten und ihrer Untergruppen am Verfahren der gemeinsamen klinischen Bewertungen beteiligt. Das Verfahren findet parallel zum zentralen Zulassungsverfahren der Europäischen Arzneimittelagentur statt. Es beginnt mit der Festlegung des Bewertungsumfangs, der den Bedürfnissen der Mitgliedstaaten entsprechen muss. Anschließend wird der Entwickler der Gesundheitstechnologie von der Europäischen Kommission zur Einreichung eines Dossiers aufgefordert. Auf dieser Grundlage erstellen die von der zuständigen Untergruppe aus ihrem Kreis ernannten Gutachter unter Einbindung von Klinikern, Patienten und sonstigen Experten Bewertungsberichte, die spätestens 30 Tage nach Zulassung von der Koordinierungsgruppe gebilligt werden und nach verfahrenstechnischer Prüfung durch die Kommission veröffentlicht werden. Die Mitgliedstaaten dürfen nach der Verordnung im Rahmen ihrer nationalen Bewertungen bereits auf Unionsebene eingereichte Unterlagen nicht erneut anfordern und müssen die veröffentlichten europäischen Berichte in angemessener Weise berücksichtigen.

Die Verordnung (EU) 2021/2282 enthält unmittelbar in den Mitgliedstaaten geltendes Recht und bedarf insofern keiner nationalen Umsetzung. Allerdings könnte das unregelmäßige Nebeneinander von gemeinsamen klinischen Bewertungen und deutschem Nutzenbewertungsverfahren im Detail zu gewissen Unsicherheiten führen, die die praktische Umsetzung beeinträchtigen können. Insbesondere erscheint es geboten, das Verhältnis zwischen europäischem und nationalem Dossier klar zu regeln und die Zeitabläufe so zu gestalten, dass die europäischen Bewertungsberichte regelhaft Eingang ins deutsche Nutzenbewertungsverfahren finden.

#### B. Lösung

Das Bundesministerium für Gesundheit begrüßt die Einführung der gemeinsamen Bewertung von neuen Arzneimitteln auf EU-Ebene und unterstützt die damit verfolgten Ziele. Das europäische Verfahren soll einheitlich strukturierte, hochwertige und transparente Informationen für die klinische Entscheidungsfindung, für Patientinnen und Patienten in der EU zur Verfügung stellen und eine geeignete Grundlage für Entscheidungen der nationalen Gesundheitssysteme bilden. Für pharmazeutische Unternehmer soll der bürokratische Aufwand bei der Einreichung der Daten vermindert werden. Das Verfahren ist daher auch ein wichtiger Baustein bei der Verbesserung des EU-Standorts für innovative

Gesundheitstechnologien. Zugleich muss die hohe Qualität des bereits 2011 eingeführten deutschen Nutzenbewertungsverfahrens für neue Arzneimittel nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch erhalten bleiben und in die praktische Ausgestaltung des europäischen Verfahrens einfließen. Werturteile und Schlussfolgerungen zum Zusatznutzen verblieben auch künftig vollständig in der Zuständigkeit des Gemeinsamen Bundesausschusses.

Es ist zu erwarten, dass auf EU-Ebene und im Zusammenspiel zwischen europäischen und nationalen Verfahren in der Einführungsphase noch Lernprozesse stattfinden werden hinsichtlich der Durchführung der Bewertungen, insbesondere bei der Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten untereinander und mit den Entwicklern von Gesundheitstechnologien.

Vor diesem Hintergrund werden zunächst für eine Einführungsphase lediglich geringfügige Anpassungen der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung vorgeschlagen. Europäisches und nationales Verfahren werden sachgerecht verzahnt.

Das bekannte Verfahren der Dossiereinreichung beim Gemeinsamen Bundesausschuss einschließlich des vorgegebenen Übermittlungszeitpunkts bleibt bestehen. In Umsetzung des europäischen Doppelanforderungsverbots wird klargestellt, dass bereits auf EU-Ebene eingereichte Informationen nicht erneut im nationalen Dossier zu übermitteln sind. Der pharmazeutische Unternehmer entscheidet, inwieweit er die Angaben im europäischen Dossier für die Nutzenbewertung verwenden möchte, und nimmt im nationalen Dossier auf die entsprechenden Inhalte Bezug (Verweislösung). Der Zeitpunkt für die Übermittlung des nationalen Dossiers und die Fristen für das Bewertungsverfahren bleiben grundsätzlich unverändert. Um für die nationale Bewertung regelhaft die Feststellungen der europäischen Berichte berücksichtigen zu können, wird dem Gemeinsamen Bundesausschuss jedoch die Befugnis eingeräumt, das Verfahren für bis zu drei Monate nach Zulassung auszusetzen, solange diese Berichte noch nicht veröffentlicht sind. Sind sie erst nach Verfahrensbeginn, aber vor Veröffentlichung des deutschen Nutzenbewertungsberichts verfügbar, macht sie der Gemeinsame Bundesausschuss zum Gegenstand seiner Anhörung der Fachöffentlichkeit und berücksichtigt sie in seinem Beschluss. Die deutsche Nutzenbewertung erfolgt auf Grundlage sowohl des deutschen als auch des europäischen Dossiers und der veröffentlichten europäischen Berichte.

Das Bundesministerium für Gesundheit wird die Einführungsphase der europäischen Bewertungen intensiv begleiten, auswerten und gegebenenfalls notwendige Änderungen im Anschluss vornehmen, insbesondere mit dem Ziel, Doppelarbeit zu vermeiden.

## **C. Alternativen**

Keine.

## **D. Haushaltsausgaben ohne Erfüllungsaufwand**

Keine.

## **E. Erfüllungsaufwand**

### **E.1 Erfüllungsaufwand für Bürgerinnen und Bürger**

Keiner.

## **E.2 Erfüllungsaufwand für die Wirtschaft**

Keiner.

## **E.3 Erfüllungsaufwand der Verwaltung**

Keiner.

## **F. Weitere Kosten**

Keine.

# Referentenentwurf des Bundesministeriums für Gesundheit

## Erste Verordnung zur Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung

Vom ...

Auf Grund des § 35a Absatz 1 Satz 7 und 8 des Fünften Buches Sozialgesetzbuch – Gesetzliche Krankenversicherung –, von denen Satz 8 Nummer 2 zuletzt durch Artikel 2 Nummer 3 Buchstabe a Doppelbuchstabe bb des Gesetzes vom 9. Juli 2023 (BGBl. I Nr. 197) geändert worden ist, verordnet das Bundesministerium für Gesundheit:

### Artikel 1

#### Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung

Die Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung vom 28. Dezember 2010 (BGBl. I S. 2324), die zuletzt durch Artikel 6 des Gesetzes vom 19. Juli 2023 (BGBl. 2023 I Nr. 197) geändert worden ist, wird wie folgt geändert:

1. Dem § 2 wird folgender Absatz 6 angefügt:

„(6) Gemeinsame klinische Bewertung ist die Bewertung eines Arzneimittels nach Artikeln 7 bis 15 der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1).“

2. § 4 wird wie folgt geändert:

a) Absatz 1 Satz 1 wird wie folgt geändert:

aa) In Nummer 6 wird der Punkt am Ende durch ein Komma ersetzt.

bb) Folgende Nummer 7 wird angefügt:

„7. die Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des Fünften Buches Sozialgesetzbuch teilgenommen haben, und die Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer.“

b) Nach Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) Wurde für das Arzneimittel nach Artikel 10 Absatz 2 der Verordnung (EU) 2021/2282 ein Dossier zur Durchführung einer gemeinsamen klinischen Bewertung vorgelegt und wurde die Bewertung nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind die im vorgelegten Dossier enthaltenen sowie die gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 oder Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 nachgereichten Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise (europäisches Dossier) nicht an den Gemeinsamen Bundesausschuss zu übermitteln. Der pharmazeutische Unternehmer bestimmt im Dossier, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein

soll, indem er auf die dortigen Informationen, Daten, Analysen oder sonstigen Nachweise Bezug nimmt.“

3. § 7 wird wie folgt geändert:

a) Nach Absatz 1 Satz 2 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sind zusätzlich

1. das europäische Dossier im nach § 4 Absatz 2a Satz 2 bestimmten Umfang,
2. die nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 vor Beginn der Nutzenbewertung veröffentlichten Berichte und
3. alle anderen auf der IT-Plattform gemäß Artikel 30 der Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen

Grundlage für die Nutzenbewertung.“

b) Absatz 3 wird wie folgt geändert:

aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurde für das Arzneimittel eine gemeinsame klinische Bewertung eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt oder nach Artikel 12 Absatz 5 Satz 1 der Verordnung (EU) 2021/2282 abgeschlossen, soll der Gemeinsame Bundesausschuss, sofern zu dem Zeitpunkt, der für die Einreichung der Nachweise nach § 4 Absatz 3 maßgeblich ist, noch keine Berichte nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht wurden, das Verfahren bis zu deren Veröffentlichung aussetzen, längstens jedoch bis zum Ablauf von drei Monaten ab der Zulassung des Arzneimittels oder seines neuen Anwendungsgebiets.“

bb) In dem neuen Satz 3 wird das Wort „Sie“ durch die Wörter „Die Nutzenbewertung“ ersetzt.

c) Absatz 4 wird wie folgt geändert:

aa) Nach Satz 1 wird folgender Satz eingefügt:

„Wurden nach dem Beginn, aber vor der Veröffentlichung der Nutzenbewertung zu dem Arzneimittel Berichte über eine gemeinsame klinische Bewertung nach Artikel 12 Absatz 4 der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht, stellt der Gemeinsame Bundesausschuss diese neben der Nutzenbewertung zur Anhörung.“

bb) Der bisherige Satz 5 wird Absatz 5.

d) In dem neuen Absatz 5 werden nach den Wörtern „Der Beschluss“ die Wörter „über die Nutzenbewertung nach Absatz 4“ eingefügt.

4. Nach § 9 Absatz 2 wird folgender Absatz 2a eingefügt:

„(2a) In den Fällen des § 4 Absatz 2a wird das europäische Dossier durch Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform gemäß Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d der Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlicht. Ist das europäische

Dossier im Zeitpunkt nach Absatz 1 Satz 1 dort nicht verfügbar, stellt der pharmazeutische Unternehmer dem Gemeinsamen Bundesausschuss innerhalb eines Tages eine Fassung des europäischen Dossiers zur Verfügung, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist. Der Gemeinsame Bundesausschuss veröffentlicht diese unverzüglich auf seiner Internetseite.“

## **Artikel 2**

### **Inkrafttreten**

Diese Verordnung tritt am Tag nach der Verkündung in Kraft.

## **Begründung**

### **A. Allgemeiner Teil**

#### **I. Zielsetzung und Notwendigkeit der Regelungen**

##### **1. Einführung der Bewertung von Gesundheitstechnologien auf Unionsebene**

Mit der Verordnung (EU) 2021/2282 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 15. Dezember 2021 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien und zur Änderung der Richtlinie 2011/24/EU (ABl. L 458 vom 22.12.2021, S. 1), die am 23. Dezember 2021 in Kraft getreten ist, wurde eine rechtliche Grundlage für die gemeinsame Bewertung von Gesundheitstechnologien („health technology assessment“, HTA) auf Ebene der Europäischen Union (EU) geschaffen. Durch die Verordnung sollten ein Unterstützungsrahmen und Verfahren für die Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten sowie gemeinsame Vorschriften und Methoden für die gemeinsame klinische Bewertung festgelegt und zugleich ein Mechanismus etabliert werden, der sicherstellt, dass der Entwickler einer Gesundheitstechnologie alle hierfür erforderlichen Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise nur einmal auf Unionsebene einreichen muss (vergleiche Artikel 1 und Erwägungsgründe 11 und 13 Verordnung (EU) 2021/2282).

Gesteuert wird die gemeinsame Arbeit durch die Koordinierungsgruppe der Mitgliedstaaten zur Bewertung von Gesundheitstechnologien (Artikel 3 Verordnung (EU) 2021/2282), die ihrerseits Untergruppen zur Wahrnehmung spezifischer Aufgaben eingerichtet hat. Die in Deutschland mit der Nutzenbewertung nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) beauftragten Institutionen, der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) und das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), sind aufgrund ihrer Benennung durch das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) sowohl in der Koordinierungsgruppe als auch in ihren Untergruppen als Mitglieder vertreten.

Artikel 7 bis 15 Verordnung (EU) 2021/2282 regeln als zentrales Element von EU-HTA das Verfahren zur gemeinsamen klinischen Bewertung von Gesundheitstechnologien (Joint Clinical Assessments, JCA). Gegenstand der Bewertungen sind nach Artikel 7 Absatz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 Arzneimittel, für die eine zentrale Zulassung beantragt wird, sowie bestimmte Medizinprodukte und In-Vitro-Diagnostika. Für den Arzneimittelbereich wurde ein schrittweiser Ansatz gewählt, bei dem zunächst ab 12. Januar 2024 lediglich Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen zur Behandlung von Krebs sowie Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP) der Bewertung unterliegen, ab 13. Januar 2028 zusätzlich Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan Drugs“) und ab 13. Januar 2030 schließlich sämtliche Arzneimittel im zentralen Zulassungsverfahren (Artikel 7 Absatz 2 Verordnung (EU) 2021/2282).

Zu Beginn des JCA-Verfahrens führt die zuständige Untergruppe ein Verfahren zur Festlegung des Bewertungsumfangs („Scoping“) durch. Der Bewertungsumfang bezieht sich gemäß Artikel 8 Absatz 6 Satz 3 Verordnung (EU) 2021/2282 insbesondere auf die Patientengruppe, die Intervention, den Komparator und die gesundheitsbezogenen Endpunkte („population, intervention, comparator, outcomes“, kurz „PICO“). Er muss nach Artikel 8 Absatz 6 Verordnung (EU) 2021/2282 „inklusiv“ sein und den Bedürfnissen der Mitgliedstaaten in Bezug auf die Parameter sowie die vom Entwickler der Gesundheitstechnologie vorzulegenden Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise entsprechen.

Nachdem der Bewertungsumfang festgelegt wurde, unterrichtet die Europäische Kommission den Entwickler der Gesundheitstechnologie über das Ergebnis und fordert ihn zur Einreichung eines Dossiers auf (Artikel 10 Absatz 1 Verordnung (EU) 2021/2282). Das Dossier

muss gesetzlich festgelegten inhaltlichen Mindestanforderungen genügen (Artikel 9 Absatz 2, 3 und 4 in Verbindung mit Anhang I Verordnung (EU) 2021/2282) und gemäß einem vorgegebenen Format und Muster eingereicht werden (Artikel 26 Absatz 1 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282 und Artikel 12 Absatz 1 in Verbindung mit Anhang I der Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 der Kommission vom 23. Mai 2024 zur Festlegung von Verfahrensvorschriften für das Zusammenspiel im Zuge der Erstellung und Aktualisierung gemeinsamer klinischer Bewertungen von Humanarzneimitteln auf Unionsebene, den Informationsaustausch darüber und die Beteiligung daran sowie zur Festlegung von Mustern für diese gemeinsamen klinischen Bewertungen gemäß der Verordnung (EU) 2021/2282 über die Bewertung von Gesundheitstechnologien [ABl. L, 2024/1381, 24.5.2024]).

Auf Grundlage des Dossiers erstellen die von der zuständigen Untergruppe aus dem Kreis ihrer Mitglieder benannten Gutachter Entwürfe eines Berichts über die gemeinsame klinische Bewertung sowie eines zusammenfassenden Berichts, die anschließend von der Untergruppe fertiggestellt und der Koordinierungsgruppe zur Billigung vorgelegt werden (Artikel 15 Absatz 2 Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 und Artikel 11 Absatz 1 Verordnung (EU) 2021/2282). Die Berichte dürfen keine Werturteile oder Schlussfolgerungen zum gesamten klinischen Zusatznutzen der bewerteten Gesundheitstechnologie enthalten und beschränken sich auf eine Beschreibung der wissenschaftlichen Analyse der relativen Effekte der Gesundheitstechnologie nach dem Maßstab des Bewertungsumfanges sowie der Aussagesicherheit der relativen Effekte unter Berücksichtigung der Stärken und Schwächen der verfügbaren Nachweise (Artikel 9 Absatz 1 Verordnung (EU) 2021/2282).

Die Koordinierungsgruppe ist bestrebt, die finalen Berichtsentwürfe innerhalb der von ihr selbst festgelegten Fristen und für Arzneimittel spätestens 30 Tage nach Annahme des Beschlusses der Kommission über die Erteilung der Zulassung einvernehmlich zu billigen (Artikel 12 Absatz 2 Satz 1, 11 Absatz 1 Satz 2 und 3 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282). Kann kein Konsens erreicht werden, ist vorgesehen, abweichende wissenschaftliche Gutachten einschließlich der sie stützenden wissenschaftlichen Argumente in die Berichte aufzunehmen, und die Berichte gelten dann als gebilligt (Artikel 12 Absatz 2 Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282). An die Billigung der Berichte schließt sich eine „verfahrenstechnische Prüfung“ durch die Kommission an, die innerhalb von zehn Arbeitstagen nach Eingang durchzuführen ist. Sie endet bei positivem Prüfergebnis mit der Veröffentlichung der Berichte im Internet (Artikel 12 Absatz 4 Verordnung (EU) 2021/2282). Bei Feststellung von Verfahrensmängeln findet hingegen eine Überprüfung durch die Koordinierungsgruppe statt; führt diese aus Sicht der Kommission nicht zur Behebung der Mängel, werden die Berichte nicht veröffentlicht, sondern den Mitgliedstaaten lediglich zusammen mit dem Prüfergebnis im Intranet der EU-HTA-IT-Plattform zugänglich gemacht (Artikel 12 Absatz 3 und 5 Verordnung (EU) 2021/2282).

Die Pflichten der Mitgliedstaaten bei der Durchführung nationaler HTA-Verfahren, wenn zuvor ein JCA auf EU-Ebene eingeleitet wurde oder bereits JCA-Berichte veröffentlicht wurden, sind in Artikel 13 Absatz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 geregelt. Danach dürfen die Mitgliedstaaten Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise, die der Entwickler bereits auf Unionsebene eingereicht hat, nicht auf nationaler Ebene anfordern (Buchstabe c) – dem entspricht spiegelbildlich das an den Entwickler gerichtete Verbot, solche Nachweise auf nationaler Ebene vorzulegen (Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282). Das EU-Dossier ist den nationalen HTA-Unterlagen beizufügen (Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe b Verordnung (EU) 2021/2282). Ziel dieser Regelungen ist es, den verwaltungstechnischen und finanziellen Aufwand der Unternehmen für die Bedienung mehrerer divergierender Einreichungsaufforderungen auf Ebene der Mitgliedstaaten zu verringern (Erwägungsgrund 32). Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Satz 1 und Buchstabe c Verordnung (EU) 2021/2282 verpflichten die Mitgliedstaaten darüber hinaus, im Rahmen der nationalen Bewertung die veröffentlichten JCA-Berichte sowie alle anderen auf der EU-HTA-IT-Plattform verfügbaren Informationen in angemessener Weise zu berücksichtigen, und ihrem nationalen Bewertungsbericht den JCA-Bericht beizufügen. Dies berührt



ausdrücklich nicht die Zuständigkeit der Mitgliedstaaten, ihre eigenen Schlussfolgerungen über den (gesamten) klinischen Zusatznutzen einer Gesundheitstechnologie im Kontext ihres spezifischen Gesundheitssystems zu ziehen und (nur) die Teile des JCA-Berichts zu berücksichtigen, die in diesem Zusammenhang relevant sind, beispielsweise wenn nicht sämtliche Komparatoren aus dem EU-Bewertungsumfang im nationalen Versorgungskontext eine Rolle spielen (Erwägungsgrund 28). Das Ergebnis gemeinsamer klinischer Bewertungen soll nicht späteren Entscheidungen über Preisbildung und Erstattung einschließlich der Festlegung der hierfür maßgeblichen Kriterien vorgreifen, da diese Entscheidungen ausschließlich in die nationale Zuständigkeit fallen (Erwägungsgrund 14). Dem Berücksichtigungsgebot soll vor allem durch Einbeziehung in die Dokumentation, die den nationalen HTA-Prozess unterstützt, Rechnung getragen werden; es ist hingegen nicht im Sinne einer Verbindlichkeit des wissenschaftlichen Inhalts des JCA-Berichts für die nationalen Behörden zu verstehen (Erwägungsgrund 31). Es führt auch in zeitlicher Hinsicht weder zu einem „Bewertungsstopp“, solange der JCA-Bericht nicht vorliegt, da der nationale HTA-Prozess nicht verzögert werden soll, noch zum „Einfrieren“ des Bewertungsergebnisses, da die Mitgliedstaaten insbesondere mit Blick auf die unterschiedlichen Fristen die Möglichkeit haben sollen, auch Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise, die nicht Teil des JCA auf Unionsebene waren, einzubeziehen (Erwägungsgründe 30 und 31). Zudem ist es den Mitgliedstaaten unbenommen, für die Zwecke des nationalen HTA-Verfahrens erforderliche ergänzende klinische Analysen durchzuführen und hierfür gegebenenfalls zusätzliche Informationen, Daten, Analysen und sonstige Nachweise anzufordern (Erwägungsgrund 15).

## **2. Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach deutschem Recht**

Das deutsche HTA-Verfahren ist im Arzneimittelbereich die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V als Teil des mit dem Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG) vom 22. Dezember 2010 (BGBl. I S. 2262) eingeführten Systems der Erstattung und Preisbildung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen. Es ermöglicht durch die unmittelbare Erstattungsfähigkeit neu zugelassener Arzneimittel (keine „vierte Hürde“) einen schnellen Zugang der Versicherten zu innovativen Therapien und fördert zugleich die Wirtschaftlichkeit der Versorgung, indem der Zusatznutzen der neuen Arzneimittel im Vergleich zu bestehenden Therapieoptionen wissenschaftlich fundiert ermittelt und Grundlage für die Preisverhandlungen wird.

§ 35a SGB V wird durch untergesetzliche Regelungen ergänzt. Das Nähere zur Nutzenbewertung hat das BMG nach § 35a Absatz 1 Satz 7 und 8 SGB V in der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) geregelt. Weitere Einzelheiten hat der G-BA gemäß § 35a Absatz 1 Satz 9 SGB V im fünften Kapitel seiner Verfahrensordnung festgelegt.

Nach § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V muss der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA die Nachweise für die Nutzenbewertung (das Dossier) spätestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens sowie vier Wochen nach Zulassung neuer Anwendungsgebiete übermitteln. Die Mindestinhalte des Dossiers werden in § 4 AM-NutzenV näher bestimmt und durch Modulvorlagen als Anlagen zur Verfahrensordnung des G-BA operationalisiert. § 5 AM-NutzenV regelt die Anforderungen an den Nachweis des Zusatznutzens und § 6 AM-NutzenV die Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie. Nach Prüfung des Dossiers entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder hiermit das IQWiG oder Dritte beauftragt (§ 35a Absatz 2 Satz 1 SGB V). Die Nutzenbewertung ist spätestens innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen (§ 35a Absatz 2 Satz 3 SGB V). Der G-BA beschließt über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung (§ 35a Absatz 3 Satz 1 SGB V). Vor dem Beschluss ist 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 Ärztesgesellschaften der besonderen Therapierichtungen auf Bundesebene Gelegenheit zur Stellungnahme zu geben und sind die Stellungnahmen in die Entscheidung einzubeziehen (§ 35a Absatz 3 Satz 2 in Verbindung mit § 92 Absatz 3a Satz 1 und 2 SGB V). Einzelheiten zu den Informationsgrundlagen für die Nutzenbewertung und zum Ablauf des Verfahrens sind in § 7 AM-NutzenV geregelt.

Auf Grundlage des Nutzenbewertungsbeschlusses vereinbart der Spitzenverband Bund der Krankenkassen mit pharmazeutischen Unternehmern Erstattungsbeträge (§ 130b Absatz 1 Satz 1 SGB V). Maßgeblich für die Höhe des Erstattungsbetrags sind Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des festgestellten Zusatznutzens im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie (siehe im Einzelnen § 130b Absatz 3 SGB V). Kommt eine Vereinbarung nicht innerhalb von sechs Monaten nach Veröffentlichung des Nutzenbewertungsbeschlusses zustande, setzt die zuständige Schiedsstelle den Vertragsinhalt innerhalb von drei Monaten fest (§ 130b Absatz 4 Satz 1 SGB V). Der vereinbarte oder festgesetzte Erstattungsbetrag gilt (rückwirkend) ab dem siebten Monat nach dem erstmaligen Inverkehrbringen beziehungsweise nach Zulassung des neuen Anwendungsgebiets (§ 130b Absatz 3a Satz 2 und 3 SGB V).

### **3. Anpassungsbedarf**

Die Inhalte der Verordnung (EU) 2021/2282 und ihrer Durchführungsverordnungen sind unmittelbar in den Mitgliedstaaten geltendes Recht (Artikel 288 Absatz 2 des Vertrags über die Arbeitsweise der Europäischen Union) und bedürfen insofern keiner gesetzgeberischen Transformation ins nationale Recht. Allerdings könnte das unregelmäßige Nebeneinander von gemeinsamen klinischen Bewertungen und deutschem Nutzenbewertungsverfahren im Detail zu gewissen Unsicherheiten führen, die die praktische Umsetzung beeinträchtigen können. Insbesondere erscheint es geboten, das Verhältnis zwischen EU-Dossier und nationalem Dossier klar zu regeln und die Zeitabläufe so zu gestalten, dass die JCA-Berichte regelmäßig Eingang ins deutsche Nutzenbewertungsverfahren finden.

## **II. Wesentlicher Inhalt des Entwurfs**

Das BMG begrüßt die Einführung von EU-HTA für neue Arzneimittel und unterstützt die damit verfolgten Ziele. Das europäische Verfahren soll einheitlich strukturierte, hochwertige und transparente Informationen für die klinische Entscheidungsfindung, für Patientinnen und Patienten in der EU zur Verfügung stellen und eine geeignete Grundlage für Entscheidungen der nationalen Gesundheitssysteme bilden. Für pharmazeutische Unternehmer soll der bürokratische Aufwand bei der Einreichung der Daten vermindert werden. EU-HTA ist daher auch ein wichtiger Baustein bei der Verbesserung des EU-Standorts für innovative Gesundheitstechnologien. Zugleich muss die hohe Qualität des deutschen Nutzenbewertungsverfahrens erhalten bleiben und in die praktische Ausgestaltung von EU-HTA einfließen. Werturteile und Schlussfolgerungen zum Zusatznutzen verbleiben auch künftig vollständig in der Zuständigkeit des G-BA.

Es ist zu erwarten, dass auf EU-Ebene und im Zusammenspiel zwischen EU-HTA und nationalen Verfahren in der Einführungsphase noch Lernprozesse stattfinden werden hinsichtlich der Durchführung der Bewertungen, insbesondere bei der Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten untereinander und mit den Entwicklern von Gesundheitstechnologien.

Vor diesem Hintergrund werden zunächst für eine Einführungsphase lediglich geringfügige Anpassungen der AM-NutzenV vorgeschlagen. EU-HTA und nationales Verfahren werden sachgerecht verzahnt. Das BMG wird die Einführungsphase intensiv begleiten, auswerten und gegebenenfalls notwendige Änderungen im Anschluss vornehmen, insbesondere mit dem Ziel, Doppelarbeit zu vermeiden.

Das bekannte Verfahren der Dossiereinreichung beim G-BA einschließlich des vorgegebenen Übermittlungszeitpunkts bleibt bestehen. In Umsetzung des europäischen Doppelanforderungsverbots wird klargestellt, dass bereits auf EU-Ebene eingereichte Informationen nicht erneut im nationalen Dossier zu übermitteln sind. Der pharmazeutische Unternehmer entscheidet, inwieweit er die Angaben im europäischen Dossier für die Nutzenbewertung verwenden möchte, und nimmt im nationalen Dossier auf die entsprechenden Inhalte Bezug (Verweislösung). Der Zeitpunkt für die Übermittlung des nationalen Dossiers und die Fristen für das Bewertungsverfahren bleiben grundsätzlich unverändert. Um für die nationale Bewertung regelhaft die Feststellungen der JCA-Berichte berücksichtigen zu können, wird dem G-BA jedoch die Befugnis eingeräumt, das Verfahren für bis zu drei Monate nach Zulassung auszusetzen, solange diese Berichte noch nicht veröffentlicht sind. Sind sie erst nach Verfahrensbeginn, aber vor Veröffentlichung des deutschen Nutzenbewertungsberichts verfügbar, macht sie der G-BA zum Gegenstand seiner Anhörung der Fachöffentlichkeit und berücksichtigt sie für seinen Beschluss. Die deutsche Nutzenbewertung erfolgt auf Grundlage sowohl des deutschen als auch des EU-Dossiers und der veröffentlichten JCA-Berichte.

Mit den Anpassungen ist keine Änderung der Bewertungsmaßstäbe der deutschen Nutzenbewertung verbunden. Bis zum Ende des Übergangszeitraums am 13. Januar 2030 finden parallel zu den Bewertungen nach vorangegangenen JCA weiterhin rein nationale Bewertungsverfahren statt. Unter Beachtung des Gleichheitsgrundsatzes (Artikel 3 Absatz 1 des Grundgesetzes) bedürfen Unterschiede zwischen den Bewertungsverfahren einer sachlichen Rechtfertigung. Für zuvor auf EU-Ebene bewertete Arzneimittel national andere Bewertungsmaßstäbe anzulegen, wird weder von der Verordnung (EU) 2021/2282 verlangt, noch erscheint es in der Sache gerechtfertigt, vor allem da die Bewertungen als Grundlage für die Vereinbarung von Erstattungsbeträgen nach § 130b SGB V auch wirtschaftliche Folgewirkungen haben können. Davon unberührt bleibt das längerfristige Ziel, die Erfahrungen mit EU-HTA gewinnbringend zur Weiterentwicklung der nationalen HTA-Verfahren zu nutzen, wie es insbesondere in dem in Artikel 13 Absatz 2 und Artikel 31 Verordnung (EU) 2021/2282 vorgesehenen Informationsaustauschs- und Evaluierungsprozess angelegt ist.

### **III. Alternativen**

Keine. Im Hinblick auf die Verordnung (EU) 2021/2282 ist eine weitergehende Umgestaltung oder Ablösung des deutschen Nutzenbewertungsverfahrens, die gesetzgeberischen Anpassungsbedarf auslösen würde, nicht erforderlich.

Insbesondere kann bei vorangegangener gemeinsamer klinischer Bewertung nicht pauschal auf den Beschluss des G-BA über die Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 3 SGB V verzichtet werden. Dossier und Berichte auf Unionsebene berücksichtigen zwar idealerweise die deutschen Anforderungen an den Bewertungsumfang, enthalten aber keine Werturteile oder Schlussfolgerungen zum Zusatznutzen des Arzneimittels. Es bedarf somit eines Bewertungsschrittes, in dem die Konsequenzen aus den EU-HTA-Berichten für die nationale Nutzenbewertung gezogen werden.

### **IV. Regelungskompetenz**

Die Regelungskompetenz des BMG folgt aus § 35a Absatz 1 Satz 7 und 8 SGB V.

### **V. Vereinbarkeit mit dem Recht der Europäischen Union und völkerrechtlichen Verträgen**

Die Verordnung ist mit dem Recht der Europäischen Union und mit den völkerrechtlichen Verträgen, die die Bundesrepublik Deutschland abgeschlossen hat, vereinbar.

## **VI. Regelungsfolgen**

### **1. Rechts- und Verwaltungsvereinfachung**

Durch die Möglichkeit der Bezugnahme auf das europäische Dossier ergeben sich für den pharmazeutischen Unternehmer geringfügige Vereinfachungen im deutschen Nutzenbewertungsverfahren, wenn für ein Arzneimittel zuvor auf Unionsebene ein Dossier zur Durchführung eines JCA-Verfahren eingereicht wurde.

### **2. Nachhaltigkeitsaspekte**

Die im Verordnungsentwurf vorgesehenen Regelungen stehen im Einklang mit den Leitgedanken der Bundesregierung zur nachhaltigen Entwicklung im Sinne der Deutschen Nachhaltigkeitsstrategie (DNS). Sie leisten im Zusammenspiel mit dem bestehenden Rechtsrahmen der Nutzenbewertung einen Beitrag zur hochwertigen und zugleich bezahlbaren Versorgung mit innovativen Arzneimitteln und stehen so im Einklang mit dem Nachhaltigkeitsziel 3 der DNS „Ein gesundes Leben für alle Menschen jeden Alters gewährleisten und ihr Wohlergehen fördern“.

### **3. Haushaltsausgaben ohne Erfüllungsaufwand**

Keine.

### **4. Erfüllungsaufwand**

#### **Bürgerinnen und Bürger**

Für Bürgerinnen und Bürger entsteht kein Erfüllungsaufwand infolge der Verwaltungsänderungen.

#### **Wirtschaft**

Für die Wirtschaft ergibt sich kein zusätzlicher Erfüllungsaufwand infolge der Verwaltungsänderungen. Die Möglichkeit der Bezugnahme auf die Inhalte des EU-Dossiers sorgt dafür, dass sich der Gesamtaufwand, der pharmazeutischen Unternehmern bis zum Abschluss des deutschen Nutzenbewertungsverfahrens entsteht, in Summe nicht erhöht.

#### **Verwaltung**

Für die Verwaltung ergibt sich kein zusätzlicher Erfüllungsaufwand infolge der Verwaltungsänderungen.

### **5. Weitere Kosten**

Keine.

### **6. Weitere Regelungsfolgen**

Keine.

## **VII. Befristung; Evaluierung**

Eine Befristung der Regelungen kommt nicht in Betracht, da eine sachgerechte Verzahnung von JCA-Verfahren auf Unionsebene und nationaler Nutzenbewertung dauerhaft gewährleistet sein muss. Mit Blick auf den schrittweisen Ansatz der Verordnung (EU) 2021/2282 wird sich die Anzahl der betroffenen Verfahren im zeitlichen Verlauf ausweiten.

Es ist zu erwarten, dass auf EU-Ebene und im Zusammenspiel zwischen EU-HTA und nationalen Verfahren in der Einführungsphase noch Lernprozesse stattfinden werden hinsichtlich der Durchführung der Bewertungen, insbesondere bei der Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten untereinander und mit den Entwicklern von Gesundheitstechnologien. Das BMG wird die Einführungsphase intensiv begleiten, auswerten und gegebenenfalls notwendige Änderungen im Anschluss vornehmen, insbesondere mit dem Ziel, Doppelarbeit zu vermeiden.

## **B. Besonderer Teil**

### **Zu Artikel 1 (Änderung der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung)**

#### **Zu Nummer 1**

Der neue § 2 Absatz 6 AM-NutzenV definiert aus Gründen der redaktionellen Vereinfachung den Begriff der „gemeinsamen klinischen Bewertung“ unter Bezugnahme auf die Regelung des JCA in Artikeln 7 bis 15 Verordnung (EU) 2021/2282.

#### **Zu Nummer 2**

##### **Zu Buchstabe a**

Die Ergänzung der Liste der Pflichtangaben im Dossier nach § 4 Absatz 1 Satz 1 AM-NutzenV um eine neue Nummer 7 bildet die entsprechende Änderung in § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V durch das Medizinforschungsgesetz vom 23. Oktober 2024 (BGBl. I Nr. 324) ab. Die Regelung ist deklaratorischer Natur.

##### **Zu Buchstabe b**

Mit dem neuen § 4 Absatz 2a AM-NutzenV wird die Integration des für das JCA-Verfahren auf EU-Ebene eingereichten Dossiers in das nationale Nutzenbewertungsverfahren vorgeesehen .

Das vom Entwickler der Gesundheitstechnologie eingereichte JCA-Dossier ist Teil der auf der IT-Plattform nach Artikel 30 Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen. Sobald es übermittelt wurde, stellt es die Kommission in ihrer Funktion als HTA-Sekretariat den Gutachtern und der JCA-Untergruppe, in der die HTA-Behörden der Mitgliedstaaten vertreten sind, gleichzeitig zur Verfügung; Entsprechendes gilt für später nachgereichte Daten (Artikel 12 Absatz 8 Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381). Die Mitgliedstaaten sind bei der Durchführung ihrer nationalen HTA-Verfahren verpflichtet, alle auf der IT-Plattform verfügbaren Informationen in angemessener Weise zu berücksichtigen (Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282). Sie müssen das nach Artikel 10 Absatz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 eingereichte Dossier ihren nationalen HTA-Unterlagen beifügen (Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe b Verordnung (EU) 2021/2282). Sie dürfen Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise, die der Entwickler der Gesundheitstechnologie gemäß Artikel 10 Absatz 1 oder 5 Verordnung (EU) 2021/2282 bereits auf Unionsebene eingereicht hat, nicht auf nationaler Ebene anfordern (Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d Verordnung (EU) 2021/2282). Spiegelbildlich ist es dem Entwickler der Gesundheitstechnologie untersagt, seinerseits auf nationaler Ebene Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise vorzulegen, die bereits auf Unionsebene vorgelegt wurden (Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282). Erklärtes Ziel der Verbote ist es, den verwaltungstechnischen und finanziellen Aufwand der Entwickler von Gesundheitstechnologien zu verringern (Erwägungsgrund 32 Verordnung (EU) 2021/2282).

Um diesen unionsrechtlichen Vorgaben Rechnung zu tragen, regelt § 4 Absatz 2a Satz 1 AM-NutzenV, dass die bereits im JCA-Dossier bereitgestellten Inhalte für die deutsche

Nutzenbewertung nicht mehr an den G-BA zu übermitteln sind. Diese Einschränkung der Nachweispflichten im nationalen Dossier ergibt sich in der Sache bereits aus dem europäischen Doppelanforderungsverbot und hat daher lediglich klarstellenden Charakter. Sie gilt unter der Bedingung, dass das JCA-Verfahren eingeleitet und nicht nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 wieder eingestellt wurde.

Wurde das europäische Dossier trotz zweiter Aufforderung durch die Kommission nicht fristgerecht oder unvollständig eingereicht und hat die Kommission daraufhin das JCA-Verfahren gemäß Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt, sieht Artikel 10 Absatz 6 Satz 3 Verordnung (EU) 2021/2282 vor, dass das Verbot der erneuten Anforderung bereits auf EU-Ebene eingereicherter Informationen im nationalen Verfahren nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d keine Anwendung findet. Dementsprechend kann hier die Vorlage eines vollständigen Nutzenbewertungsdossiers nach nationalen Vorgaben verlangt werden.

Die Befreiung von einer erneuten Einreichung erstreckt sich sowohl auf die Informationen, die im ursprünglichen Dossier enthalten sind, welches der Entwickler der Gesundheitstechnologie nach erster Aufforderung durch die Kommission gemäß Artikel 10 Absatz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 vorlegt, als auch auf etwaige Nachreichungen gemäß Artikel 10 Absatz 5 Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 im Zuge einer zweiten Aufforderung nach nicht fristgerechter Einreichung oder negativem Ausgang der Vollständigkeitsprüfung. Ebenfalls nicht erneut vorzulegen sind Informationen, welche die Kommission zu einem späteren Zeitpunkt angefordert hat, weil die Gutachter bei der Erstellung der Berichtsentwürfe feststellen, dass für die Durchführung der Bewertung weitere Spezifikationen, Klarstellungen oder zusätzliche Informationen, Daten, Analysen oder sonstige Nachweise benötigt werden (Artikel 11 Absatz 2 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 in Verbindung mit Artikel 12 Absatz 5 und 7, Artikel 16 Absatz 4 Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381).

§ 4 Absatz 2a Satz 2 AM-NutzenV regelt, auf welche Art und Weise die Inhalte des JCA-Dossiers Eingang ins nationale Nutzenbewertungsverfahren finden. Dies ist notwendig, da das JCA-Dossier einerseits Informationen enthalten wird, die für die deutsche Nutzenbewertung nicht relevant sind, und andererseits nicht alle Informationen enthalten kann, die für das deutsche Verfahren benötigt werden. Der Bewertungsumfang des JCA muss nach Artikel 8 Absatz 6 Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282 inklusiv sein und den Bedürfnissen aller Mitgliedstaaten in Bezug auf die Parameter (PICOs) sowie auf die vom Entwickler der Gesundheitstechnologie vorzulegenden Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise entsprechen. Der Entwickler wird also auf EU-Ebene typischerweise auch Informationen zu Fragestellungen vorlegen, die den Bedürfnissen und dem Versorgungskontext anderer Mitgliedstaaten entsprechen und die – beispielsweise weil die im Ausland verwendete Vergleichstherapie in Deutschland nicht mehr zum Versorgungsstandard gehört – für die Nutzenbewertung nicht verwertbar sind. Nach § 4 Absatz 2a Satz 2 AM-NutzenV bestimmt daher der pharmazeutische Unternehmer, inwieweit das europäische Dossier Grundlage der Nutzenbewertung sein soll.

Konkret erfolgt die Bestimmung über die Heranziehung der Informationen aus dem JCA-Verfahren durch die Bezugnahme auf die Inhalte des europäischen Dossiers. Eine Wiederholung der dort enthaltenen Informationen, Daten, Analysen und sonstigen Nachweise kann nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe d Verordnung (EU) 2021/2282 seitens der Mitgliedstaaten nicht verlangt werden und wäre nach Artikel 10 Absatz 3 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 dem Entwickler der Gesundheitstechnologie sogar untersagt. Daher muss die Einbringung dergestalt erfolgen, dass der pharmazeutische Unternehmer im nationalen Dossier angibt, an welchen Stellen des JCA-Dossiers sich die aus seiner Sicht für das Nutzenbewertungsverfahren benötigten Inhalte befinden (Verweislösung). Einzelheiten hierzu kann der G-BA in seiner Verfahrensordnung beziehungsweise den Modulvorlagen festlegen.

Durch den gewählten Ansatz wird zugleich das Wahlrecht des pharmazeutischen Unternehmers zwischen mehreren zulässigen Vergleichstherapien sichergestellt. § 6 Absatz 2a AM-NutzenV bestimmt für den Fall, dass mehrere Alternativen für die Vergleichstherapie gleichermaßen zweckmäßig sind, der Zusatznutzen gegenüber jeder dieser Therapien nachgewiesen werden kann. Bei einem rein nationalen Nutzenbewertungsverfahren kann der pharmazeutische Unternehmer hier wählen, welche Vergleichstherapie(n) er für den Nachweis des Zusatznutzens im Dossier heranzieht und welche nicht. Im JCA-Verfahren ist er hingegen verpflichtet, soweit möglich sämtliche Fragestellungen zu den relativen Effekten des Arzneimittels, die sich aus dem Bewertungsumfang (PICOs) ergeben, zu beantworten, so dass ein vergleichbares Wahlrecht nicht besteht. § 4 Absatz 2a Satz 2 AM-NutzenV erlaubt es ihm daher zu bestimmen, auf Basis der Nachweise zu welcher Vergleichstherapie die deutsche Nutzenbewertung erfolgen soll. Möchte der pharmazeutische Unternehmer ausnahmsweise den Zusatznutzen gegenüber einer Vergleichstherapie nachweisen, die nicht Teil des EU-Bewertungsumfangs geworden ist, kann er dies ebenfalls tun.

Da es bei dem Grundsatz bleibt, dass Darlegung und Nachweis des Zusatznutzens dem pharmazeutischen Unternehmer obliegen, hat dieser auch zu prüfen, ob und inwieweit die Inhalte des europäischen Dossiers für die Zwecke der Durchführung der deutschen Nutzenbewertung ausreichen, und sie bei Bedarf zu aktualisieren oder zu ergänzen.

Da das JCA-Verfahren und die hierfür vorgesehene Dossievorlage insbesondere im Zusammenspiel mit weiteren von der Koordinierungsgruppe zu beschließenden Leitfäden und dem im einzelnen Verfahren festzulegenden Bewertungsumfang noch nicht in der Praxis erprobt sind, obliegt es dem pharmazeutischen Unternehmer, gegebenenfalls die notwendigen Ergänzungen im Hinblick auf die Angaben nach § 4 Absatz 1 Satz 1 Nummer 1 bis 3 AM-NutzenV vorzunehmen. Dies entspricht Erwägungsgrund 15 zur Verordnung (EU) 2021/2282, wonach die Mitgliedstaaten für den nationalen HTA-Prozess bei Bedarf ergänzende klinische Analyse durchführen und hierfür gegebenenfalls zusätzliche Nachweise vom Entwickler der Gesundheitstechnologie verlangen können. Weiterhin regelhaft an den G-BA zu übermitteln sind die Angaben nach Absatz 1 Satz 1 Nummer 4 bis 7 AM-NutzenV zur Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht, zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung, zur Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung sowie zur Anzahl der Teilnehmer an den klinischen Prüfungen, die für die Feststellung nach § 35a Absatz 3 Satz 5 und 6 SGB V benötigt werden (Nummer 2). Diese Informationen betreffen ausschließlich den nationalen Versorgungskontext und können daher im JCA-Dossier nicht enthalten sein, so dass auch nicht darauf verwiesen werden kann.

Für die Einhaltung der Fristen nach § 4 Absatz 3 AM-NutzenV ist darauf abzustellen, ob sowohl die Angaben und Nachweise aus dem nationalen Dossier, als auch die Inhalte aus dem europäischen Dossier, auf die der pharmazeutische Unternehmer Bezug nimmt, zu dem betreffenden Zeitpunkt übermittelt waren.

### **Zu Nummer 3**

#### **Zu Buchstabe a**

Der neu eingefügte § 7 Absatz 1 Satz 3 AM-NutzenV ergänzt die Grundlagen der Nutzenbewertung um das europäische Dossier (wobei § 4 Absatz 2a Satz 2 zu beachten ist), die gemäß Artikel 12 Absatz 4 Verordnung (EU) 2021/2282 veröffentlichten JCA-Berichte und die sonstigen auf der IT-Plattform nach Artikel 30 Verordnung (EU) 2021/2282 verfügbaren Informationen. Damit wird dem hierauf bezogenen Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282 Rechnung getragen.

Es wird klargestellt, dass die JCA-Berichte nur dann Grundlage für die Nutzenbewertung sein können, wenn sie vor Beginn der Nutzenbewertung veröffentlicht wurden. Über seine

Aussetzungsbefugnis nach § 7 Absatz 3 Satz 2 (neu) AM-NutzenV soll der G-BA dafür sorgen, dass dies regelmäßig der Fall ist, so dass lediglich in Ausnahmefällen eine Nutzenbewertung ohne Rückgriff auf die Vorarbeiten auf Unionsebene stattfinden muss.

Die Erweiterung der Bewertungsgrundlagen findet keine Anwendung, wenn ein eingeleitetes JCA-Verfahren wegen nicht fristgerechter Einreichung oder Unvollständigkeit des Dossiers nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde.

### **Zu Buchstabe b**

### **Zu Doppelbuchstabe aa**

§ 7 Absatz 3 Satz 2 (neu) AM-NutzenV räumt dem G-BA in Fällen, in denen zum regulären Beginn der Nutzenbewertung die JCA-Berichte noch nicht veröffentlicht wurden, die Befugnis ein, das Verfahren bis zu deren Veröffentlichung auszusetzen, um dem Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282 Rechnung zu tragen. Ohne eine solche Anpassung könnte es dazu kommen, dass das Nutzenbewertungsverfahren ohne Rückgriff auf die Vorarbeiten auf EU-Ebene starten müsste. Für das JCA-Verfahren regelt Artikel 11 Absatz 1 Satz 3 Verordnung (EU) 2021/2282, dass die Berichtentwürfe für Arzneimittel spätestens 30 Tage nach Annahme des Beschlusses der Kommission über die Erteilung der Zulassung von der Koordinierungsgruppe gebilligt werden. Für die Änderung einer bestehenden Zulassung, die einer neuen therapeutischen Indikation entspricht (Artikel 7 Absatz 1 Buchstabe b Verordnung (EU) 2021/2282) finden lediglich die Fristenvorgaben aus Artikel 10 Absatz 2 Unterabsatz 2 Buchstabe b, 12 Absatz 2 Satz 2 Buchstabe b, Absatz 4 Satz 2 Buchstabe b, Artikel 13 Satz 2 Buchstabe b, 14 Absatz 4 Unterabsatz 2 Buchstabe b, 15 Absatz 5 Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 Anwendung. An die Billigung der Berichte durch die Koordinierungsgruppe schließt sich die verfahrenstechnische Prüfung durch die Kommission an, für die eine Höchstfrist von zehn Arbeitstagen vorgesehen ist (Artikel 12 Absatz 3 Satz 2 Verordnung (EU) 2021/2282). Bei verfahrenstechnisch einwandfreien Berichten soll die Veröffentlichung „zeitnah“ erfolgen (Artikel 12 Absatz 4 Verordnung (EU) 2021/2282), bei Mängeln findet hingegen eine Korrektur durch die Koordinierungsgruppe und eine erneute Prüfung durch die Kommission statt, für die keine konkreten Fristvorgaben bestehen (vergleiche Artikel 12 Absatz 3 Satz 2 und 3 Verordnung (EU) 2021/2282). Geht man davon aus, dass angesichts des insgesamt knapp bemessenen Bewertungszeitraums die Höchstfristen der Verordnung typischerweise ausgereizt werden, werden selbst verfahrenstechnisch einwandfreie Berichte regelmäßig erst ca. 45 Tage nach (Erst-)Zulassung eines Arzneimittels veröffentlicht werden. Der spätestmögliche Zeitpunkt für die Dossiereinreichung auf nationaler Ebene, der zugleich den Beginn des Nutzenbewertungsverfahrens markiert (vergleiche Kapitel 5 § 8 der Verfahrensordnung des G-BA), ist nach § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V in Verbindung mit § 4 Absatz 3 Nummer 1 und 2 AM-NutzenV das erstmalige Inverkehrbringen des Arzneimittels beziehungsweise bei neuem Anwendungsgebiet vier Wochen nach dessen Zulassung. Der Markteintritt eines neuen Arzneimittels kann prinzipiell unmittelbar nach Zulassung erfolgen. Nach Berechnungen der pharmazeutischen Industrie betrug die Zeitspanne von der Zulassung bis zur tatsächlichen Verfügbarkeit neuer Arzneimittel im Zeitraum 2019 bis 2022 in Deutschland im Durchschnitt 126 Tage und im Median 47 Tage (IQVIA, EFPIA Patients W.A.I.T. Indicator 2023 Survey, Stand Juni 2024). Legt man diese Zahlen zugrunde, könnte es in fast der Hälfte der Fälle zu einem Verfahrensbeginn ohne veröffentlichte JCA-Berichte kommen. Insofern erscheint eine Flexibilisierung der Fristenregelungen im Interesse einer sachgerechten Verzahnung von EU-Verfahren und nationaler Nutzenbewertung geboten.

Gewählt wird hierfür der Mechanismus einer einzelfallbezogenen Aussetzungsbefugnis des G-BA. Diese hat die Rechtswirkung, dass sich der Verfahrensbeginn der Nutzenbewertung (grundsätzlich) bis zur Veröffentlichung der JCA-Berichte verschiebt und die regulären Fristen für den Abschluss und die Veröffentlichung der Nutzenbewertung (§§ 35a Absatz 2 Satz 3 SGB V, 7 Absatz 3 Satz 1 und 3 AM-NutzenV), den Beschluss über die



Nutzenbewertung (§§ 35a Absatz 3 Satz 1 SGB V, 7 Absatz 5 Satz 5 AM-NutzenV) sowie in der Folge für die Vereinbarung oder Festsetzung eines Erstattungsbetrags (§ 130b Absatz 4 Satz 1 SGB V) entsprechend gehemmt werden. Auf die Geltung des Erstattungsbetrags in zeitlicher Hinsicht nach § 130b Absatz 3a SGB V hat die Aussetzung hingegen keinen Einfluss.

Die Regelung sieht keine zeitlich unbegrenzte Aussetzung vor, sondern verlangt, dass die Nutzenbewertung spätestens nach Ablauf von drei Monaten ab der Zulassung des Arzneimittels oder seines neuen Anwendungsgebiets begonnen wird. Dem Interesse an einer möglichst umfassenden Nutzung der Ergebnisse des EU-Verfahrens stehen gleichermaßen legitime Interessen an einem möglichst zeitnahen Abschluss des Nutzenbewertungsverfahrens gegenüber. So ist eine baldige Information über den Zusatznutzen neu zugelassener Arzneimittel im deutschen Versorgungskontext insbesondere für die von Ärztinnen und Ärzten zu treffende Verordnungsentscheidung von erheblicher Bedeutung. Darüber hinaus führen Verzögerungen des Verfahrens angesichts der Geltung des Erstattungsbetrags ab dem siebten Monat dazu, dass Kostenträger über einen längeren Zeitraum zulasten ihrer Liquidität mit einem höheren Preis in Vorleistung gehen und pharmazeutische Unternehmer entsprechende Rückstellungen zur Erfüllung von Ausgleichsansprüchen bilden müssen. Mit der geregelten Höchstfrist kann ein angemessener Ausgleich der gegenläufigen Interessen erreicht werden. Sie sorgt dafür, dass ein großer Teil der Verfahren auf der Grundlage der JCA-Berichte durchgeführt werden kann. Zusätzlich zu den ca. 45 Tagen ab Zulassung, mit denen für die Veröffentlichung bei Erstzulassung regelmäßig zu rechnen ist, wird noch ein „Puffer“ in etwa gleicher Länge eingeplant, mit dem geringfügigen Verzögerungen im JCA-Verfahren sowie den zeitlichen Unsicherheiten bei Zulassung neuer Anwendungsgebiete Rechnung getragen wird. Bei außerordentlich langen Verspätungen auf EU-Ebene muss hingegen das Interesse an einer zeitnahen Durchführung der nationalen Nutzenbewertung überwiegen. Das Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282 steht dem nicht entgegen, da es sich ausdrücklich nur auf veröffentlichte Berichte bezieht und Erwägungsgrund 31 zur Verordnung (EU) 2021/2282 deutlich macht, dass das JCA-Verfahren zu keiner Verzögerung des sich anschließenden Prozesses auf nationaler Ebene führen sollte. Seinem Anliegen kann zudem auch noch – wenn gleich in weniger umfassender Weise – durch die spätere Berücksichtigung im Stellungnahmeverfahren (neuer § 7 Absatz 4 Satz 2 AM-NutzenV) entsprochen werden.

Die Aussetzungsbefugnis des G-BA ist als „Soll“-Bestimmung gestaltet. In der Regel ist der G-BA damit zur Aussetzung verpflichtet. In atypischen Ausnahmefällen kann der G-BA jedoch von einer Aussetzung absehen, insbesondere wenn sich mit Blick auf den Ablauf des JCA-Verfahrens eine über die vorgesehene Höchstfrist für die Aussetzung hinausgehende Verzögerung bereits mit hoher Wahrscheinlichkeit abzeichnet.

Keine Anwendung findet die Aussetzungsbefugnis in Situationen, in denen ein Warten auf die Veröffentlichung der JCA-Berichte von vornherein zwecklos wäre. Das ist zum einen der Fall, wenn das Verfahren wegen Mängeln des Dossiers nach Artikel 10 Absatz 6 Satz 1 Verordnung (EU) 2021/2282 eingestellt wurde, und zum anderen, wenn sich die Kommission wegen der Missachtung von Verfahrensvorschriften endgültig gegen eine Veröffentlichung der Berichte entschieden hat (Artikel 12 Absatz 5 Verordnung (EU) 2021/2282). Einer Ermessensentscheidung durch den G-BA bedarf es hier nicht.

### **Zu Doppelbuchstabe bb**

Es handelt sich um eine redaktionelle Folgeänderung der Einfügung des neuen § 7 Absatz 3 Satz 2 AM-NutzenV.

## **Zu Buchstabe c**

### **Zu Doppelbuchstabe aa**

Mit dem eingefügten § 7 Absatz 4 Satz 2 AM-NutzenV wird der Sonderfall geregelt, dass die Berichte aus dem JCA-Verfahren zwar zu Beginn der Nutzenbewertung (trotz regelmäßig gebotener Aussetzung gemäß § 7 Absatz 3 Satz 2 AM-NutzenV) nicht verfügbar waren, jedoch vor der Veröffentlichung des (deutschen) Nutzenbewertungsberichts noch veröffentlicht werden. In diesem Fall kann dem unionsrechtlichen Berücksichtigungsgebot nach Artikel 13 Absatz 1 Buchstabe a Verordnung (EU) 2021/2282 noch in der Weise Genüge getan werden, dass der G-BA die JCA-Berichte zusammen mit dem nationalen Bewertungsbericht zur Anhörung stellt. Im Sinne einer unionsfreundlichen Verfahrensgestaltung erscheint es zumutbar, die Berücksichtigung des Berichts auch zu diesem späten Zeitpunkt sicherzustellen. Aufgrund der Beteiligung von G-BA und IQWiG am Entstehungsprozess der JCA-Berichte auf EU-Ebene ist davon auszugehen, dass unerwartete Abweichungen von den Feststellungen im nationalen Nutzenbewertungsbericht die Ausnahme bleiben und sich Unterschiede (etwa aufgrund einer Aktualisierung oder Ergänzung im nationalen Dossier) mit vertretbarem Aufwand identifizieren und würdigen lassen.

### **Zu Doppelbuchstabe bb**

Im Interesse der Übersichtlichkeit und Lesbarkeit wird der bisherige § 7 Absatz 4 Satz 5 AM-NutzenV anlässlich der Einfügung des neuen Satzes 2 in einen eigenständigen Absatz 5 überführt. Die Vorschrift knüpft zwar an den in Absatz 4 Satz 2 bis 4 (alt) AM-NutzenV geregelten Beschluss des G-BA über die Nutzenbewertung an, betrifft jedoch nicht dessen Zustandekommen, sondern vielmehr seine Folgewirkungen für Erstattungsbeitragsvereinbarungen, ärztliche Verordnung, Praxisbesonderheiten und Festbeitragszuordnung, so dass sich die Ausgliederung in einen eigenen Absatz anbietet. Eine inhaltliche Änderung ist damit nicht verbunden.

## **Zu Buchstabe d**

Es handelt sich um eine redaktionelle Folgeänderung der Überführung des bisherigen § 7 Absatz 4 Satz 5 AM-NutzenV in einen eigenständigen Absatz.

## **Zu Nummer 4**

Der neu eingefügte § 9 Absatz 2a AM-NutzenV regelt Besonderheiten der Offenlegung des europäischen Dossiers, dessen Inhalte wegen der Bezugnahmemöglichkeit nach § 4 Absatz 2a Satz 2 AM-NutzenV aus Transparenzgründen zusätzlich zum nationalen Dossier öffentlich verfügbar sein müssen. Das europäische Dossier soll zur Vermeidung von Doppelungen grundsätzlich durch Verweis auf die öffentlich zugängliche Internetseite der IT-Plattform des EU-HTA-Systems offengelegt werden. Dies ist jedoch nur möglich, wenn im maßgeblichen Zeitpunkt, also bei Veröffentlichung der Nutzenbewertung nach § 7 Absatz 2 AM-NutzenV, das Dossier dort bereits abgerufen werden kann. Nach Artikel 30 Absatz 3 Buchstabe d Verordnung (EU) 2021/2282 erfolgt die öffentliche Bereitstellung des Dossiers zum Zeitpunkt der Veröffentlichung des JCA-Berichts. Im Regelfall wird – auch mit Blick auf die dem G-BA in § 7 Absatz 3 Satz 2 (neu) AM-NutzenV eingeräumte Aussetzungsbefugnis – der JCA-Bericht bei Offenlegung der nationalen Nutzenbewertung bereits veröffentlicht sein. Falls dies ausnahmsweise aufgrund ungewöhnlicher Verzögerungen im JCA-Verfahren nicht der Fall ist, sollte dennoch eine Veröffentlichung auf der Internetseite des G-BA ermöglicht werden, um die notwendige Transparenz zu gewährleisten und eine sinnvolle Durchführung des Stellungnahmeverfahrens nach § 35a Absatz 3 Satz 2 in Verbindung mit § 92 Absatz 3a SGB V beziehungsweise § 7 Absatz 4 Satz 1 AM-NutzenV zu erlauben. Allerdings ist zu berücksichtigen, dass das JCA-Dossier Informationen enthalten kann, die der Entwickler der Gesundheitstechnologie als vertraulich erachtet (vergleiche Artikel 11 Absatz 5 Satz 3 Verordnung (EU) 2021/2282). Die Entscheidung über die Veröffentlichung solcher Informationen oder ihre etwaige Unkenntlichmachung liegt nach Artikel 20

Durchführungsverordnung (EU) 2024/1381 in der Zuständigkeit der Europäischen Kommission. Würde der G-BA wie sonst beim nationalen Dossier selbst nach § 9 Absatz 1 Satz 1 AM-NutzenV über die Veröffentlichung entscheiden, müsste er die Bewertung der Kommission faktisch vorwegnehmen; eine spätere Schwärzung durch die Kommission könnte die Vertraulichkeit der bereits offenbarten Informationen nicht wiederherstellen. Daher wird geregelt, dass der pharmazeutische Unternehmer dem G-BA innerhalb eines Tages eine Fassung des JCA-Dossiers übermittelt, mit deren Veröffentlichung er einverstanden ist, bei der also die von ihm als vertraulich erachteten Informationen unkenntlich gemacht wurden. Der G-BA veröffentlicht diese Fassung unverzüglich auf seiner Internetseite. Die damit einhergehenden Transparenzeinbußen sind zur Wahrung der unionsrechtlich vorgezeichneten Kompetenzordnung hinzunehmen. Die Frist von einem Tag ist dem pharmazeutischen Unternehmer zuzumuten, da er im JCA-Verfahren ohnehin angeben muss, welche Informationen er als vertraulich erachtet, so dass ihm regelmäßig bereits eine redigierte Fassung des EU-Dossiers vorliegen wird.

### **Zu Artikel 2 (Inkrafttreten)**

Die Neuregelungen sollen am Tag nach der Verkündung der Änderungsverordnung im Bundesgesetzblatt in Kraft treten. Ein rückwirkendes Inkrafttreten zum Geltungsbeginn der Verordnung (EU) 2021/2282 am 12. Januar 2025 ist nicht erforderlich, da ab diesem Zeitpunkt lediglich die ersten JCA-Verfahren auf EU-Ebene eingeleitet werden, nicht jedoch bereits die diesen nachgelagerten Nutzenbewertungsverfahren nach § 35a SGB V, für welche die Änderungen der AM-NutzenV von Bedeutung sind.