

BINDOC WHITE PAPER

**BERATUNG DER PHARMAZEUTISCHEN
UNTERNEHMEN IM RAHMEN DER
NUTZENBEWERTUNG VON ARZNEIMITTELN
NACH § 35A SGB V**





Originalaufsatz: Beratung von pharmazeutischen Unternehmen im Rahmen der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach §35a SGB V

Autor: Charalabos-Markos Dintisios und Sara Schlenkrich

Veröffentlicht in: Market Access Management für Pharma- und Medizinprodukte - Instrumente, Verfahren und Erfolgsfaktoren

Seiten: 157 - 175

Zusammenfassung und Bewertung: Catharina Mai, BinDoc GmbH

KEY FACTS

Die Autoren geben einen Überblick über die Beratung von pharmazeutischen Unternehmen im Rahmen der Nutzenbewertung von Arzneimitteln nach §35a SGB V. Dintisios und Schlenkrich beschreiben den Ablauf der Beratung und gehen anschließend auf die Bedeutung der Beratung und die Erwartungshaltung der beteiligten Akteure ein, um anschließend über Erfahrungen von involvierten Akteuren mit den Beratungsgesprächen zu berichten sowie Entwicklungspotenziale aufzuzeigen.

ZUSAMMENFASSUNG

Einführung

Die optionale Beratung der Hersteller vor Dossiereinreichung beim gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) wird seit der Einführung des AMNOG 2011 angeboten. Die Hersteller haben durch die Beratung die einmalige Möglichkeit, mit dem G-BA die konkreten Anforderungen der frühen Nutzenbewertung an die erforderliche Evidenz für einen Wirkstoff vor Studienplanung bzw. Dossiererstellung zu diskutieren und sind somit von erheblicher Bedeutung. Aus Unternehmenssicht sollen durch diese Beratungen primär Unklarheiten beseitigt und damit die Bewertung von "kein Zusatznutzen" zumindest aus formalen Gründen vermieden werden.

Inhaltlich bezieht sich die Beratung im Wesentlichen auf folgende Aspekte:

- **Studienplanung** (Auswahl einzuschließender Patienten, Verwendbarkeit von Fragebögen, Wahl der patientenrelevanten Endpunkte, Patientenpopulationen)
- Bestimmung der für das Anwendungsgebiet relevanten **zweckmäßigen Vergleichstherapie**

Aus rechtlicher Sicht ist die Beratung durch den G-BA in §35a SGB V festgehalten und wird in § 8 (1) der zugehörigen Verordnung (AM-NutzenV) konkretisiert.

Beratungsprozess

Der Beratungsprozess an sich kann nur Anhand von Interviews beteiligter Akteure (Hersteller, ehemalige bzw. aktive G-BA Mitarbeiter) beschrieben werden. Innerhalb des G-BA ist überwiegend der **Unterausschuss Arzneimittel** am Beratungsprozess beteiligt.

In einem ersten Schritt der Beratung reicht das Pharmaunternehmen das Anforderungsformular des G-BA ein.

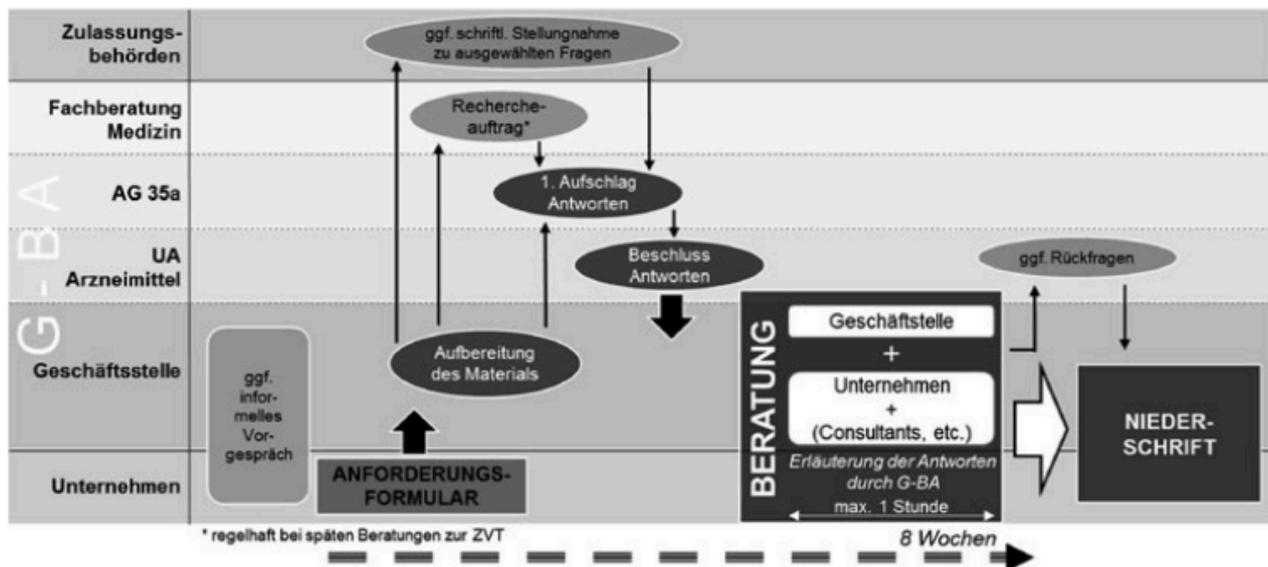


Abb. 1: Prozessablauf der Beratung beim GBA

Quelle: Dintsios und Schlenkrich (2020)

Das Anforderungsformular besteht aus einer in sechs Punkten vorstrukturierten Abfrage:

- Unternehmen
- Ansprechpartner
- Wirkstoff
- Zulassungsstatus
- Vorgesehenen Anlagen
- Fragen, die erörtert werden sollen.

Auf Seiten des G-BA beginnt anschließend die Vorbereitung des Beratungsgesprächs und somit die Aufbereitung des eingereichten Informationsmaterials durch einen Referenten der G-BA-Geschäftsstelle. Auch die nationale Zulassungsbehörde kann bei Bedarf um eine schriftliche Stellungnahme bei ausgewählten Fragen des Herstellers hinzugezogen werden.

Bezieht sich der Beratungsauftrag auf eine zweckmäßige Vergleichstherapie (ZVT) wird regelmäßig ein Auftrag an die Fachberatung Medizin des G-BA hinsichtlich einer Recherche erteilt. Die "Arbeitsgruppe 35a" erstellt daraufhin, unter Berücksichtigung des aufbereiteten Materials sowie der Rechercheergebnisse, einen ersten Antwortentwurf. Dieser muss anschließend vom Unterausschuss Arzneimittel beschlossen werden. Erst dann findet das eigentliche Beratungsgespräch zwischen der G-BA-Geschäftsstelle und dem Pharmaunternehmen statt. Inhalte dieses Gesprächs sind die Darlegung der gesetzlichen Rahmenbedingungen sowie die Präsentation der erarbeiteten Antworten. Dabei werden Rückfragen des Unternehmens meist nur nach vorheriger Rücksprache mit dem Unterausschuss Arzneimittel und somit zeitlich verzögert beantwortet. Das Unternehmen erhält im Anschluss eine Niederschrift der Beratung vom G-BA.

Bedeutung der Beratung und Erwartungshaltung der Akteure

Die große Bedeutung der Beratung durch den G-BA lässt sich unter anderem daran erkennen, dass die pharmazeutischen Unternehmen in ihren Dossiers auf die Beratung beim G-BA verweisen. Auch das IQWiG verweist bei der Nutzenbewertung explizit auf die Beratungsgespräche sowie deren Niederschriften.

Die Erwartungshaltung an die Beratung unterscheidet sich je nach Akteur. Die **Pharmaunternehmen** erhoffen sich beispielsweise eine Beratung hinsichtlich des Studiendesigns sowie der Auswahl der zweckmäßigen Vergleichstherapie. Aber auch die Niederschrift der Beratung ist für die Unternehmen elementar, da dies die einzige Möglichkeit darstellt, um einerseits die Position des Unternehmens und andererseits die Aussagen des G-BA für den weiteren Prozess der frühen Nutzenbewertung schriftlich festzuhalten.

Der **G-BA** wiederum erwartet von den pharmazeutischen Unternehmen klar das optionale Angebot der Beratung auch tatsächlich in Anspruch zu nehmen.

Die **Zulassungsbehörden** haben das Ziel frühzeitig mit dem G-BA zusammenzuarbeiten, um eine frühzeitige und strukturierte Zusammenarbeit bei Fragestellungen zur Zulassung und zur Nutzenbewertung zu gewährleisten. Um dieses Ziel umsetzen zu können, haben die nationalen Zulassungsbehörden sowie der G-BA eine frühzeitige und enge Zusammenarbeit vereinbart.

Die **Fachgesellschaften** weisen auf Verbesserungsbedarf hin, besonders im Hinblick auf den Verfahrensablauf und Aspekte der frühen Nutzenbewertung einschließlich der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie und der Priorisierung von Endpunkten.

Die institutionelle **Patientenvertretung** ist nur im Rahmen der Vorbereitung der Beratungsgespräche im G-BA-Unterausschuss Arzneimittel an der Beratung beteiligt. Zumindest in Bezug auf einzelne Fragen könnte die Involvierung vor allem von betroffenen Patientenvertretern in den Beratungsprozess aufschlussreiche Informationen zur Versorgungsrealität liefern.

Erfahrungen der involvierten Akteure mit Beratungsgesprächen

Von Seiten des G-BA gibt es hinsichtlich der Erfahrungen kaum Aussagen, dies ist größtenteils sicherlich auf die Vertraulichkeit des Verfahrens zurückzuführen. Befragte Mitarbeiter des G-BA haben jedoch bezüglich ihrer Erfahrungen folgende Aussagen getroffen:

- Die **Qualität** der eingereichten Anforderungsformulare sowie der Materialien unterscheiden sich durchaus je nach Unternehmen sowohl qualitativ wie auch quantitativ.
- Auch der **Arbeitsaufwand** je Beratung ist sehr unterschiedlich. Er bedingt sich im Wesentlichen durch die Anzahl der Subgruppen, der Ausarbeitungsqualität der eingereichten Unterlagen und dem Wiederholungsgrad.

Die Pharmaunternehmen hingegen berichten, dass die Beratungsgespräche einen **"Verordnungscharakter"** besäßen und die Entscheidung des G-BA lediglich verkündet und weniger diskutiert werde.

Um die Erfahrungen der Hersteller auf eine breite Basis zu stellen, wurde von den Autoren eine Erhebung der Erfahrungen durchgeführt, dabei kam es zu folgenden anekdotischen Erkenntnissen:

- Nur bei sehr wenigen Beratungen waren das IQWiG und das PEI anwesend. In den meisten Fällen beschränkten sich die Teilnehmer auf die G-BA-Geschäftsstelle und nur in äußerst seltenen Fällen waren Vertreter aus dem Unterausschuss Arzneimittel vertreten.
- Viele Vertreter des G-BA lassen fehlende Kenntnisse hinsichtlich zulassungsrelevanter Anforderungen zu klinischen Studien erkennen.
- Die Argumentation des G-BA wird häufig als dogmatisch bzw. rigide empfunden.
- Es kam öfter zu inkonsistenten Aussagen während der Beratungsgespräche.
- Positiv wird die Möglichkeit der Teilnahme von Vertretern der globalen Zentralen erachtet.
- Der erzielte Lernkurveneffekt bei mehreren Beratungsgesprächen wird als positiv empfunden.
- Die Beratung sei zwar nicht verbindlich, aber das schriftliche Protokoll fiel meist spezifischer und enger aus als das Beratungsgespräch selbst.
- Die Mehrheit der Hersteller gab an, dass sie durch die Beratung neue Erkenntnisse zu Aspekten gewinnen konnten, die vorher nicht antizipiert wurden.

Entwicklungspotenzial aus industrieller Perspektive

Die Beratung stellt für Pharmaunternehmen eine wichtige Säule im Verfahren dar, weil sie der einzige Weg ist, um die konkreten Anforderungen des G-BA an die erforderliche Evidenz für einen Wirkstoff vor Dossiererstellung bzw. Studienplanung zu klären. Allerdings müsste es auch die Pflicht des G-BA sein, sich über die Studienlage zu informieren und anschließend realistische Anforderungen für die frühe Nutzenbewertung zu formulieren. Hierfür ist eine Abstimmung zwischen G-BA und Zulassungsbehörden von besonderer Bedeutung.

Trotz vielen Schritten in die richtige Richtung mangelt es dem deutschen Vorgehen noch immer an einem tiefgehenden fachlichen Dialog zwischen Herstellern, G-BA, Wissenschaft und Zulassungsbehörde.