

Zusammenfassende Übersicht über die  
**Stellungnahmen zum Entwurf des  
Begutachtungsleitfadens  
„Einzelimportierte Arzneimittel nach  
§ 73 Arzneimittelgesetz“**

Stand des Entwurfs: 28.06.2024, Abgabefrist für eine  
schriftliche Stellungnahme: 26.07.2024



## IMPRESSUM

### Autorinnen und Autoren

Prof. Dr. Stefan Dhein, Medizinischer Dienst Sachsen

Dr. Evelyn Lange, Medizinischer Dienst Thüringen

Dr. Nina Mahnecke-Sleyoum, Medizinischer Dienst Nordrhein

Dr. Andreas Rhode, Medizinischer Dienst Westfalen-Lippe

Dr. Nam Michael Tran-Cong, Medizinischer Dienst Nordrhein

### Herausgeber

Sozialmedizinische Expertengruppe 6 „Arzneimittelversorgung“

Medizinischer Dienst Westfalen-Lippe

Roddestraße 12

48153 Münster

Telefon: 0251 6930-8150

Fax: 0251 6930-7950

E-Mail: [seg6@md-wl.de](mailto:seg6@md-wl.de)

<http://www.md-wl.de>

## Inhalt

<b>1</b>	<b>Übersicht Stellungnahmen .....</b>	<b>4</b>
<b>2</b>	<b>Stellungnahmen der Organisationen und Bewertung durch die SEG 6.....</b>	<b>6</b>
2.1	Bundesministerium für Gesundheit .....	6
2.2	GKV-Spitzenverband .....	13
2.3	Paul-Ehrlich-Institut .....	18
2.4	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte .....	18
2.5	Deutsche Gesellschaft für Geriatrie e.V. (DGG).....	19
2.6	Deutsche Ophthalmologische Gesellschaft e.V. (DOG) .....	19
2.7	Deutsche Gesellschaft für Rheumatologie und klinische Immunologie (DGRh) .....	23

### Farblegende:

Übernahme der Anmerkung aus der Stellungnahme

Teilweise Übernahme der Anmerkung aus der Stellungnahme

Keine Übernahme der Anmerkung aus der Stellungnahme

## 1 Übersicht Stellungnahmen

Zur Stellungnahme aufgerufene Organisation	Rückmeldung erfolgt	Eingang	Inhalt
Bundesärztekammer	X	24.07.2024	Kein Kommentierungsbedarf
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte	X	22.07.2024	Stellungnahme
Bundesministerium für Gesundheit	X	02.08.2024	Stellungnahme
Deutsche Gesellschaft für Geriatrie e.V.	X	26.07.2024	Stellungnahme
Deutsche Gesellschaft für Pneumologie und Beatmungsmedizin e.V.	X	24.07.2024	Keine Änderungsvorschläge
Deutsche Gesellschaft für Rheumatologie und Klinische Immunologie e.V.	X	01.08.2024	Stellungnahme
Deutsche Ophthalmologische Gesellschaft e.V.	X	26.07.2024	Stellungnahme
GKV-Spitzenverband	X	09.07.2024	Stellungnahme
Kassenärztliche Bundesvereinigung			

<b>Zur Stellungnahme aufgerufene Organisation</b>	<b>Rückmeldung erfolgt</b>	<b>Eingang</b>	<b>Inhalt</b>
Paul-Ehrlich-Institut	X	17.07.2024	Stellungnahme
Robert Koch-Institut	X	24.07.2024	Kein Kommentierungsbedarf

## 2 Stellungnahmen der Organisationen und Bewertung durch die SEG 6

### 2.1 Bundesministerium für Gesundheit

#### 2.1.1 Abkürzung EWR (Seite 9, Zeile 15)

Die Abkürzung EWR sollte ausgeschreiben werden. Alle anderen Abkürzungen werden in diesem Absatz auch ausgeschreiben.

#### **Bewertung:**

Es handelt sich um eine redaktionelle Änderung, die umgesetzt wird.

#### 2.1.2 GKV-Leistungspflicht (Seite 9, Zeile 22f)

Die Abkürzung GKV sollte zunächst ausgeschreiben und die Rechtsgrundlage verdeutlicht werden.

#### *Änderungsvorschlag:*

Die Leistungspflicht der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) bemisst sich insbesondere nach den §§ 2, 12, 70 SGB V und der gemäß § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V vom Gemeinsamen Bundesausschuss beschlossenen Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL)

#### **Bewertung:**

Es handelt sich um eine redaktionelle Änderung, die umgesetzt wird.

### **2.1.3 § 5 Verbot bedenklicher Arzneimittel (Seite 12, Zeilen 1 bis 7), Fünftes Buch Sozialgesetzbuch (SGB V) – GKV (Seite 13, Zeilen 9 bis 25)**

Die Formulierung sollte unverändert belassen werden, jedoch einheitlich formatiert wie im Absatz zuvor unter § 73 (blauer Kasten). Es sei nicht ersichtlich, warum § 5 anders dargestellt werden.

#### **Bewertung:**

Es handelt sich um eine redaktionelle Änderung, die umgesetzt wird.

### **2.1.4 BSG-Urteil vom 04.04.2006, Az.: B 1 KR 7/05 R, zu Tomudex (Seite 15, Zeile 19 bis Seite 16, Zeile 4)**

Die Vereinfachung des Leseflusses wird vorgeschlagen.

#### *Änderungsvorschlag:*

Im BSG-Urteil vom 04.04.2006, Az.: B 1 KR 7/05 R, zum Importarzneimittel Tomudex wurden folgende vom BVerfG im Beschluss vom 06.12.2005, Az.: 1 BvR 347/98 entwickelten Grundsätze auf die Versorgung mit Arzneimitteln übertragen:

- Es liegt eine lebensbedrohliche oder regelmäßig tödlich verlaufende Erkrankung vor.
- Bezüglich dieser Krankheit steht eine allgemein anerkannte, medizinischem Standard entsprechende Behandlung nicht zur Verfügung.
- Bezüglich der beim Versicherten ärztlich angewandten (neuen, nicht allgemein anerkannten) Behandlungsmethode besteht eine „auf Indizien gestützte“ nicht ganz fern liegende Aussicht auf Heilung oder wenigstens auf eine spürbare positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf.

#### **Bewertung:**

Es handelt sich um eine redaktionelle Änderung, die umgesetzt wird.

### 2.1.5 Wirksamkeitsnachweis bei erleichterten Zulassungsverfahren (Seite 19, Zeile 9f)

Auf europäischer Ebene wurden mit der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 über Arzneimittel für seltene Leiden Anreize geschaffen, um die Erforschung, Entwicklung und das Inverkehrbringen von Arzneimitteln für Seltene Leiden (sog. Orphan drugs) zu fördern.

Die Bewertung (siehe Vorschlag zur Umformulierung) der Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit erfolgt wie bei anderen Arzneimitteln auch.

*Änderungsvorschlag:*

anstelle:

... Erleichterungen im Zulassungsverfahren von Arzneimitteln beschlossen. Diese betreffen allerdings nicht die Anforderungen an den Wirksamkeitsnachweis.

Anreize für die Entwicklung von Arzneimitteln für Seltene Erkrankungen beschlossen. Die Zulassungsempfehlung des Arzneimittels für Seltene Erkrankungen erfolgt nach positiver Bewertung der Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit – wie bei anderen Arzneimitteln auch – im zentralisierten Verfahren durch den Ausschuss für Arzneimittel zur Anwendung am Menschen (CHMP) bei der EMA mit anschließender Umwandlung in eine verbindliche Zulassung durch die Europäische Kommission.

#### **Bewertung:**

Es handelt sich um eine redaktionelle Änderung, die umgesetzt wird.

### **2.1.6 Bedeutung einer fiktiven Zulassung (Seite 20, Zeile 13)**

Es wird eine Ergänzung zu fiktiv zugelassenen Arzneimitteln zu Beginn des Abschnitts 2.2.2.5 vorgeschlagen.

#### *Ergänzung:*

Seit dem Inkrafttreten des Arzneimittelgesetzes (AMG) im Jahre 1978 besteht eine Zulassungspflicht für alle Arzneimittel; deren pharmazeutischen Qualität, klinischen Wirksamkeit und Unbedenklichkeit wird mit der Zulassung beschieden. Alle Arzneimittel, die zu diesem Zeitpunkt bereits im Verkehr waren, wurden „Altarzneimittel“ genannt, die als „fiktiv“ zugelassen galten, wenn der pharmazeutische Unternehmer das Arzneimittel bei der zuständigen Behörde innerhalb des ersten Halbjahres 1978 angezeigt hatte.

#### **Bewertung:**

Durch die Ergänzung wird die fiktive Zulassung näher erläutert. Eine Übernahme des Änderungsvorschlages wird durchgeführt.

### **2.1.7 Bewertung des zulassungsfremden Einsatzes eines Arzneimittels (Seite 23, Zeile 1)**

Es wird die Prüfung angeregt, ob nicht besser der Begriff „zulassungsüberschreitend“ oder „Off-Label“ verwendet werden sollte. Das sei der gebräuchliche Terminus.

#### **Bewertung:**

In der Überschrift wird zulassungsfremd durch zulassungsüberschreitend ersetzt. Sie wird damit auf den gebräuchlichen Terminus angepasst.

### 2.1.8 Algorithmus A-4 (Seite 26, Zeile 2 sowie Seite 36, Zeile 1)

Der Prüfschritt sollte in seiner Bezeichnung auf den Wortlaut der Vorschrift verändert werden. Es komme nicht darauf an, ob das Präparat grundsätzlich im Ausland verkehrsfähig sei, sondern in dem Staat, aus dem es verbracht werde. Zudem entspreche die Formulierung der aktuellen Rechtsprechung.

*Änderungsvorschlag:*

A-4) In dem Staat rechtmäßig in Verkehr, aus dem das Arzneimittel verbracht werden soll?

#### **Bewertung:**

Dem Änderungsvorschlag wird aufgrund der dadurch getätigten Klarstellung gefolgt.

### 2.1.9 Zuständigkeit des BfArM (Seite 27, Zeile 21, Fußnote 29)

In dem Abschnitt geht es um nationale Zulassungsverfahren. Die Fußnote Nr. 29 verweist auf einen BfArM-Link zu klinischen Prüfungen. Das passe hier nicht und sollte überprüft werden.

#### **Bewertung:**

Der Fußnote wurde entsprechend des Hinweises des BMG angepasst:

BfArM: Das nationale Zulassungs- und Registrierungsverfahren. Online:  
[https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Zulassung/Zulassungsverfahren/Nationales-Verfahren/\\_node.html](https://www.bfarm.de/DE/Arzneimittel/Zulassung/Zulassungsverfahren/Nationales-Verfahren/_node.html) [Zugriff am 05.08.2024]

### **2.1.10 Prüfung des zulassungsüberschreitenden Einsatzes eines Arzneimittels (Seite 35, Zeilen 4 bis 5)**

Das BMG merkt an, dass unklar sei, was hier gemeint sei. Durch wen werde dieser Tatbestand in der Einzelfallbegutachtung geprüft, wird über das BMG gefragt. Wie weit die Zulassung gehe, sei im Einzelfall zu entscheiden. Es werde angeregt, den Satz zu streichen.

#### **Bewertung:**

Der Anregung, den Satz zu streichen, kann nicht gefolgt werden. Die Aussage, dass in der Einzelfallbegutachtung keine verbindliche Aussage über den Tatbestand eines zulassungsüberschreitenden oder -umfassenden Einsatzes möglich ist, ist wichtig und richtig.

Die Gutachterinnen und Gutachter der Medizinischen Dienste führen lediglich Einzelfallbegutachtungen durch. Eine übergreifende Aussage über den Zulassungsstatus von Arzneimitteln steht ihnen und den Medizinischen Diensten nicht zu. Dieses ist Aufgabe von Bundesoberbehörden. Dieses soll mit dem Absatz deutlich gemacht werden.

Der Absatz adressiert nicht auf eine eventuelle Überprüfung durch Gerichte, sondern soll lediglich die Grenzen der Begutachtung deutlich machen.

Es wird daher eine Ergänzung des Absatzes durchgeführt:

Eine Aussage, ob tatsächlich der Tatbestand eines zulassungsüberschreitenden oder -umfassenden Einsatzes **des beantragten Arzneimittels** vorliegt, ist rechtsverbindlich in der Einzelfallbegutachtung **durch die Gutachterinnen und Gutachter des Medizinischen Dienstes** nicht möglich.

### **2.1.11 Widerrufene Zulassung (Seite 35, Zeilen 13 bis 14)**

Der Verweis auf § 35 AMG sei nicht korrekt. Hier müsse auf § 25 AMG verwiesen werden.

#### **Beurteilung:**

Der Paragraph wird entsprechend angepasst.

### **2.1.12      Behandlungsalternativen (Seite 44, Zeile 1)**

Es gebe keinen Bezug für das Wort „entsprechend“. Daher werde die Streichung angeregt.

#### **Beurteilung:**

Der Streichung kann gefolgt werden.

### **2.1.13      Paragraf 105 (Seite 50, Zeile 1)**

An allen anderen Stellen sei das Symbol § benutzt worden.

#### **Bewertung:**

Die Bezeichnung wird auf „§ 105“ verändert.

### **2.1.14      BSG-Urteil vom 29.06.2023, Az.: B 1 KR 35/21 R, zu Translarna**

Durch das BMG wird der Hinweis gegeben, dass zum oben genannten BSG-Urteil eine Verfassungsbeschwerde laufe, deren Ausgang zukünftig berücksichtigt werden sollte.

#### **Bewertung:**

Die Verfassungsbeschwerde gegen das oben genannte BSG-Urteil wird mit Interesse durch den Medizinischen Dienst beobachtet. Sollten sich aus der Verfassungsbeschwerde Veränderungen für die Begutachtung ergeben, wird dieses in allen betroffenen Begutachtungshilfen des Medizinischen Dienstes berücksichtigt werden.

## 2.2 GKV-Spitzenverband

### 2.2.1 Parallel-/Re-Importe (Seite 9 bis 10, Zeilen 27 bis 42 und 1 bis 10)

Die Ausführungen zu Parallelimport und Reimport erscheinen für die BGL nicht erforderlich, daher sollten sie gestrichen werden.

#### **Bewertung:**

Im Rahmen der Konsentierung in der Sozialmedizinischen Expertengruppe „Arzneimittelversorgung“ (SEG 6) war die Notwendigkeit der Ausführungen zu Parallelimporten und Reimporten bereits ausführlich diskutiert worden. Es wurde sich darauf verständigt, die Passagen zu belassen, da sie für die Gutachterinnen und Gutachter den Begutachtungskontext erleichtern.

### 2.2.2 Grundsätze des Bundesgerichtshofs zum Produktrecht (Seite 24, Zeilen 5 bis 13)

Als redaktioneller Vorschlag wird zur Verdeutlichung der abweichenden höchstrichterlichen Auffassung vorgeschlagen, die Inhalte der ersten beiden Sätze zusammenzuführen und bei der Wiedergabe der abweichenden rechtlichen Auffassung Konjunktiv zu verwenden.

#### *Änderungsvorschlag:*

Der Bundesgerichtshof hat in seinem Urteil vom 11.07.2002 zum Muskelaufbaupräparat Carnitin entschieden (Az.: I ZR 34/01), dass das Präparat im jeweiligen Land, aus dem der Import erfolgen soll, als Arzneimittel zugelassen beziehungsweise als solches verkehrsfähig sein müsse.<sup>23</sup> Wenn es sich nicht um in einem anderen Mitgliedsstaat verkehrsfähige Arzneimittel, sondern um dort frei verkäufliche Nahrungsergänzungsmittel handelt, die keiner arzneimittelrechtlichen Zulassung oder Registrierung bedürfen, fehle eine tragfähige Grundlage, die Mittel, die im Ausland kein entsprechendes Prüfungsverfahren durchlaufen haben, als gleichwertig mit im Inland zugelassenen Arzneimitteln anzusehen. Damit greife das Verbringungsverbot nach § 73 Absatz 1 Satz 1 AMG.

#### **Bewertung:**

Dem redaktionellen Vorschlag kann gefolgt werden.

### 2.2.3 Ende des Algorithmus (Seite 25, Zeilen 6 bis 9)

Bei uneindeutigen Fällen, bei denen die Beurteilung des betreffenden Kriteriums durch den Gutachter vom Antragssteller widerlegt werden kann, können unbeachtete, nicht erfüllte weitere Kriterien gerichtlich herangezogen werden. Daher sollten nur bei eindeutigen Fällen die Begutachtung weiterer Kriterien als optional angesehen werden.

#### *Änderungsvorschlag:*

Die Begutachtung kann an jedem Schritt des Algorithmus beginnen, wenn bereits erkennbar ist, dass eine Empfehlung an diesem Schritt scheitert. Ist für die Gutachterin/den Gutachter erkennbar, dass ein Kriterium des Begutachtungsalgorithmus **eindeutig** nicht erfüllt ist, reicht die Bearbeitung unter Nennung dieses einzelnen Kriteriums im Gutachten aus.

#### **Bewertung:**

Der Vorschlag des GKV-SV macht die Aussage griffiger, sodass dem Vorschlag gefolgt wird.

### 2.2.4 Zurückgenommene/widerrufene Zulassung (Seite 35, Zeilen 36 bis 38)

Aufgrund einer Doppelung des ersten Absatzes von 3.2.3 wird eine Streichung des Absatzes vorgeschlagen. Zudem stelle der Einzelimport eine Ausnahme von der Regelung dar.

#### **Bewertung:**

Dem Vorschlag kann gefolgt werden.

### 2.2.5 Nachrangiges Behandlungsziel (Seite 45, Zeilen 7 bis 14)

Der beschriebene Behandlungserfolg sollte konkretisiert werden, wenn zwei unterschiedliche Behandlungsziele miteinander verglichen werden.

#### Änderungsvorschlag:

Übertragen auf andere Fallkonstellationen heißt dieses aber auch, dass als Behandlungsalternative sehr wohl Therapien infrage kommen, mit denen ein weiterführendes Behandlungsziel nicht erreichbar ist, wenn dieses nach allgemeinem Stand der medizinischen Erkenntnis als aussichtslos angesehen wird. Sollten sich bei der Recherche zu Therapiealternativen Hinweise ergeben, dass zwar für das beantragte Behandlungsziel keine Alternativen vorhanden sind, jedoch für ein nachrangigeres Behandlungsziel, so ist in jedem Fall zu prüfen, ob es zumindest indiziengestützte Hinweise auf einen Behandlungserfolg für das beantragte Arzneimittel für das beantragte Behandlungsziel gibt. Sollten diese vorliegen, ist die recherchierte Alternative mit nachrangigerem Behandlungsziel als Alternative nicht geeignet.

#### **Bewertung:**

Der Vorschlag des GKV-SV macht die Aussage griffiger, sodass dem Vorschlag gefolgt wird.

### 2.2.6 Zulassungsüberschreitende Alternative (Seite 53, Zeile 28ff)

Klarstellend sollten hier noch einmal die bereits unter 3.2.7, Seite 39 der BGL angesprochenen Fälle aufgenommen werden, dass ein Beschluss des G-BA zur Aufnahme in die Anlage VI Teil A AM-RL vorliegt bzw. dass die Kriterien der allgemeinen OLU-Rechtsprechung (BSGE 89, 184 – Sandoglobin) erfüllt sind.

„Unter Umständen“ sollte entweder gestrichen oder näher konkretisiert werden, wenn darunter weitere Voraussetzungen in Bezug auf OLU-Therapiealternativen verstanden werden.

#### Änderungsvorschlag:

Ein anderes Arzneimittel, das zulassungsüberschreitend eingesetzt werden könnte, kann als Alternative benannt werden, wenn es in Anlage VI Teil A AM-RL benannt ist, wenn für dieses Arzneimittel die Kriterien für einen Einsatz im Off-Label-Use oder für eine Kostenübernahme bei verfassungskonformer Auslegung des Leistungsrechts der GKV im Notstand erfüllt sind und wenn im letzteren Fall die Evidenz für das vorgenannte Arzneimittel besser im Sinne einer Überlegenheit als für das beantragte Import-Arzneimittel ist.

### **Bewertung:**

Dem Änderungsvorschlag des GKV-SV kann nicht gefolgt werden. Die Ausführungen werden nicht unter 3.2.7 getroffen, sondern unter 3.2.9.

Es soll verdeutlicht werden, dass bei einer nachgewiesenen Überlegenheit für ein Off-Label-Arzneimittel ein Hinweis im Gutachten gegeben werden soll, selbst wenn die sozialmedizinischen Kriterien für einen Import nach § 73 Absatz 3 AMG erfüllt sind. Hiermit soll eine möglichst umfassende medizinische Betrachtungsweise des Einzelfalls gewährleistet werden.

Es geht nicht darum, auf eine nicht zugelassene Alternative verweisen zu können.

Um jedoch diesen Absatz verständlicher zu gestalten, wird eine Umformulierung vorgenommen:

Ein anderes Arzneimittel, das ebenfalls zulassungsüberschreitend eingesetzt werden soll, kann allenfalls unter Umständen als **Hinweis** benannt werden, wenn für dieses Arzneimittel die Kriterien für eine Kostenübernahme bei verfassungskonformer Auslegung des Leistungsrechts der GKV im Notstand erfüllt sind und die Evidenz für das vorgenannte Arzneimittel besser als für das beantragte Arzneimittel ist.

### **2.2.7 Ende des Algorithmus (Seite 58, Zeilen 10 bis 13)**

Siehe Punkt 2.1.3

#### *Änderungsvorschlag:*

Die Begutachtung kann an jedem Schritt des Algorithmus einsteigen, wenn bereits **eindeutig** erkennbar ist, dass eine Empfehlung an diesem Schritt scheitert. Führt die Beantwortung einer Frage dazu, dass keine sozialmedizinische Empfehlung ausgesprochen werden kann, können alle weiteren Begutachtungsschritte entfallen.

### **Bewertung:**

Der Vorschlag des GKV-SV macht die Aussage griffiger, sodass dem Vorschlag gefolgt wird.

## 2.2.8 Eindeutigkeit des Ergebnisses (Seite 59, Zeile 2)

Im Begutachtungsleitfaden sollte der Gutachter angehalten werden, sein Ergebnis eindeutig zu formulieren. Erfahrungen unserer Mitgliedskassen zeigen, dass in den Empfehlungen/Ergebnissen der Gutachten des Medizinischen Dienstes teilweise sozialrechtliche und medizinische Empfehlungen auseinanderfallen oder das Ergebnis des Gutachtens nicht eindeutig formuliert wird (mit Formulierungen wie „unter Umständen“). Für die weitere Bearbeitung des Falles durch die Krankenkasse ist ein eindeutiges Ergebnis von großer Bedeutung. Fehlen dem Gutachter fallrelevante Informationen, kann dies auch die Feststellung sein, dass der Fall anhand der vorhandenen Unterlagen.

### *Änderungsvorschlag:*

Über das Ergebnis der Begutachtung **und die wesentlichen Gründe für dieses Ergebnis** wird gemäß § 277 Abs. 1 SGB V informiert. **Das Ergebnis des Gutachtens ist eindeutig zu formulieren.**

### **Bewertung**

Ein eindeutiges Ergebnis ist bei den komplexen Fragestellungen nicht immer möglich. Dieses wird an verschiedenen Beispielen in der Begutachtungspraxis deutlich.

Es öffnen sich hierüber zum Beispiel therapeutische Versorgungslücken, bei denen trotz Alternativlosigkeit die Evidenzlage für eine sozialmedizinische Empfehlung nicht ausreichend ist oder aber die Alternative nicht an die Wirksamkeit des beantragten Arzneimittels heranreicht.

Die sozialmedizinischen Voraussetzungen sind in diesen Fällen nicht erfüllt. Es gibt jedoch eine medizinische Rationale, das beantragte Arzneimittel einzusetzen. Dieser Sachverhalt muss den Krankenkassen für einen sachgerechten Leistungsentscheid mitgeteilt werden. Es kann zwar ein eindeutiges sozialmedizinisches Votum gegeben werden, jedoch ist der Sachverhalt an sich nicht eindeutig. Ein rein sozialmedizinisches Ergebnis führt hier dazu, dass eine sachgerechte Bearbeitung eben den Krankenkassen nicht möglich ist, um auf Basis der Informationen aus dem Gutachten zu einer Fallentscheidung zu gelangen.

## 2.3 Paul-Ehrlich-Institut

Der zu den Lieferengpässen benannte Link auf Seite 61, Zeile 27 und 28 ist nicht funktional. Es sollte einer der beiden genannten Kurzlinks verwendet werden (<http://www.pei.de/lieferengpaesse-impfstoffe-human> oder <http://www.pei.de/lieferengpaesse>).

### **Bewertung**

Dem Einwand des Stellungnehmers wird gefolgt und der bestehende Link durch <http://www.pei.de/lieferengpaesse> ersetzt.

## 2.4 Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte

### 2.4.1 Schritt A-3 bzw. Legende 3.2.3

Das BfArM begrüßt den Hinweis, dass der Status einer Arzneimittelzulassung von den Gutachterinnen und Gutachtern mit Hilfe der AMIce-Datenbank selbst ermittelt werden kann.

### **Bewertung**

Der Anmerkung ist nichts hinzuzufügen.

### 2.4.2 Schritt A-4 bzw. Legende 3.2.4

Die enthaltene Andeutung, dass ein Arzneimittel, das im Herkunftsstaat zwar nicht zugelassen, aber anderweitig nach dortigen nationalen Vorschriften rechtmäßig im Verkehr gebracht werden darf, im Wege des § 73 Absatz 3 AMG eingeführt werden darf, entspricht auch der Sichtweise des BfArM.

### **Bewertung**

Der Anmerkung ist nichts hinzuzufügen.

### **2.4.3 Schritt A-6 bzw. Legende 3.2.6**

Die dortige Anforderung, dass ein Arzneimittel zur Behandlung einer „lebensbedrohlichen oder regelmäßig tödlichen Erkrankung oder einer gleichgestellten Erkrankung“ dienen muss, ist der sozialgerichtlichen Rechtsprechung entnommen.

#### **Bewertung:**

Der Anmerkung ist nichts hinzuzufügen.

### **2.5 Deutsche Gesellschaft für Geriatrie e.V. (DGG)**

Durch die DGG wird angemerkt, dass es aus Sicht der Fachgesellschaft für hochbetagte und multimorbide Menschen immer noch zu wenige Studien gibt, die bei dem angesprochenen Therapie-Repertoire (Einzel-Importe für seltene Erkrankungen oder für nicht in Deutschland zugelassene Arzneimittel etc.) zur Begutachtung kommen und damit der Aspekt der Zulassungskriterien und Erkenntnisse zu Schaden und Nutzen nicht oder nur vage gutachterlich geklärt werden kann. Damit ist eine vorab schwierige Einschätzung für oben genannte Fälle vorzusehen.

#### **Bewertung:**

Der Anmerkung ist nichts hinzuzufügen.

### **2.6 Deutsche Ophthalmologische Gesellschaft e.V. (DOG)**

#### **2.6.1 Erblindung (Seite 39, Zeile 13/14)**

Die Definition der drohenden Erblindung sollte weiter als in dem BSG-Urteil gefasst werden und zumindest eine hochgradige Sehbehinderung (Visus maximal 0,05 an beiden Augen oder entsprechende Gesichtsfeldeinschränkungen) und eine Erblindung (Visus maximal 0,02 oder umfassende Gesichtsfeldeinschränkungen) eines Auges einbeziehen. Auch das wäre schwer vermittelbar, denn auch eine darüber liegende erheblich Sehbehinderung eines oder beider Augen bedeutet für die betroffenen Menschen im Alltag eine schwere Beeinträchtigung. Ein maximaler Grad der Behinderung (GdB) könnte hier ebenfalls hilfreich sein, um die Definition zu erweitern, z. B. ein GdB von 70, bei dem in Schwerbehindertenausweisen die Merkzeichen B, G und RF zuerkannt werden.

Generell muss kritisiert werden und zu dem vorstehend Ausgeführten angemerkt werden, dass jeder Arzt eine Nutzen-Risiko-Abwägung treffen muss. Deswegen wäre es sinnvoll die Grenzen an das Risikoprofil des Arzneimittels anzupassen.

Diese Ausführungen würden eine klarere und umfassendere Grundlage für die Bewertung der drohenden Erblindung schaffen und sicherstellen, dass Patienten, die von einer erheblichen Seheinschränkung bedroht sind und noch nicht von einer Erblindung beider Augen entsprechend der gesetzlichen Definition bedroht sind, angemessen berücksichtigt werden.

### **Bewertung**

Aus ophthalmologischer Sicht ist der Einwand nachvollziehbar. Jedoch hat das BSG in seinem Urteil vom 02.09.2014<sup>1</sup> deutlich gemacht, dass eine drohende Erblindung einer lebensbedrohlichen oder regelmäßig tödlich verlaufenden Erkrankung vergleichbar ist. Noch deutlicher wird dieses in dem BSG-Urteil vom 03.07.2012<sup>2</sup> formuliert. Nach dem Urteil zählt der Fall einer drohenden Erblindung zu den wertungsmäßig vergleichbaren Erkrankungen zu lebensbedrohlichen oder regelmäßig tödlich verlaufenden Erkrankungen. Eine Krankheit unterhalb dieser Schwelle zähle jedoch nicht dazu. Selbst die hochgradige Beeinträchtigung der Sehfähigkeit werde nicht auf diese Stufe gestellt. Die Beeinträchtigung eines Auges zählt überhaupt nicht zu den notstandsähnlichen Fallkonstellationen. Nach dem BSG-Urteil vom 20.03.2024<sup>3</sup> besteht der Zeitdruck auch, wenn jede spätere Behandlung zu spät käme und den Eintritt eines wahrscheinlich deutlich vorzeitigen Todes und damit auch einer wertungsgemäß gleichgestellten Erkrankung wie der Erblindung nicht mehr verhindern könnte.

Nach der Versorgungsmedizin-Verordnung<sup>4</sup> beträgt bei Blindheit die Sehschärfe auf keinem Auge und auch nicht beidäugig mehr als 0,02 oder es bestehen Störungen des Sehvermögens, die dieser Beeinträchtigung gleichkommen. Hierauf stellt auch die Leitlinie der DOG zur Versorgung von Sehbehinderten und Blinden von 2011<sup>5</sup> ab.

---

<sup>1</sup> BSG-Urteil vom 02.09.2014, Az.: B 1 KR 4/13 R, zur Kuba-Therapie. Online: <https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/legacy/173208> [Zugriff am 30.07.2024]

<sup>2</sup> BSG-Urteil vom 03.07.2012, Az.: B 1 KR 25/11 R, zu Bevacizumab. Online: <https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/legacy/154929> [Zugriff am 30.07.2024]

<sup>3</sup> BSG Urteil vom 20.03.2024, Az.: B 1 KR 36/22 R, zu g-Strophanthin. Online: <https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/node/176271> [Zugriff am 02.08.2024]

<sup>4</sup> Versorgungsmedizin-Verordnung vom 10. Dezember 2008 (BGBl. I S. 2412), zuletzt durch Artikel 2 der Verordnung vom 19. Juni 2023 (BGBl. 2023 I Nr. 158) geändert

<sup>5</sup> DOG: Leitlinie Nr. 7: Versorgung von Sehbehinderten und Blinden, Stand: August 2011

Für die sozialmedizinische Bewertung im Rahmen einer Begutachtung zum Import nach § 73 Absatz 3 AMG kommen lediglich notstandsähnliche Fallkonstellationen im Sinne des § 2 Absatz 1a SGB V in Betracht. Beeinträchtigungen im Sehen können zweifelsohne zu massiven Beeinträchtigungen in der Lebensqualität und der Teilhabe führen. Das BSG hat jedoch eindeutig festgelegt, wann eine notstandsähnliche Fallkonstellation besteht. Ein Abweichen von diesen Grundsätzen steht den Medizinischen Diensten nicht zu.

Damit ist der drohende Verlust der Sehfähigkeit auf einem Auge in jedem Fall als notstandsähnliche Fallkonstellation ausgeschlossen. Bei der Erblindung nach Maßgabe der Versorgungsmedizin-Verordnung ist auf den Wortlaut im BSG-Urteil abzustellen. Danach muss die Erblindung drohen und kann entsprechend noch nicht eingetreten sein. Im Gegenteil besteht bei eingetretener Erblindung eben kein Zeitdruck mehr, der eine Beurteilung im Notstand rechtfertigen würde. Es muss sich also nach dem BSG-Urteil abzeichnen, dass die Sehfähigkeit beidäugig auf 0,02 oder darunter absinken wird oder Störungen bestehen, die dieser Beeinträchtigung gleichkommen.

### **2.6.2 FDA-Zulassungen**

Bei FDA-zugelassenen Medikamenten ohne EMA-Zulassung sollten großzügige Regelungen ermöglicht werden, insbesondere wenn vorliegende Daten für eine baldige EMA-Zulassung sprechen.

Ein Medikament ist bereits von der FDA zugelassen und es liegen Zulassungsstudien vor, aber eine Zulassung durch die EMA ist noch nicht erfolgt. Dies betrifft sowohl Erstzulassungen als auch Zulassungserweiterungen. Ein prägnantes Beispiel hierfür ist der Rho-Kinase-Inhibitor Roclanda zur Glaukomtherapie, der in Japan viele Jahre vor der EMA-Zulassung zugelassen war.

#### **Bewertung:**

Die Medizinischen Dienste sind an die bestehende Gesetzgebung und die Rechtsprechung gebunden. Eine Ausnahmeregelung für Zulassungen beispielsweise aus den USA wurde nach Rechtsprechung des BSG nicht geschaffen. Das BSG hat in seinem Urteil vom 27.03.2007<sup>6</sup> ausgeführt:

---

<sup>6</sup> BSG-Urteil vom 27.03.2007, Az.: B 1 KR 30/06 R, zu Cannabinol. Online: <https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/legacy/68416?modul=esgb&id=68416> [Zugriff am 02.08.2024]

*„Die [...] bestehende Arzneimittelzulassung im Ausland entfaltet nicht zugleich auch entsprechende Rechtswirkungen für Deutschland. Weder das deutsche Recht noch das Europarecht sehen eine solche Erweiterung der Rechtswirkungen der nur von nationalen Behörden erteilten Zulassungen ohne ein entsprechendes vom Hersteller eingeleitetes sowie positiv beschiedenes Antragsverfahren vor“.*

Es gibt keinen Vorrang für Importe mit einer Zulassung der FDA. Aus diesem Grund können auch die Medizinischen Dienste diesbezüglich keine Ausnahme schaffen.

Es gibt hierzu auch hinreichend Beispiele, dass Arzneimittel in den USA durch die FDA zugelassen wurden, jedoch das CHMP der EMA ein negatives Votum ausgesprochen hat. Im ophthalmologischen Bereich ist als Beispiel Pegcetacoplan bei geographischer Atrophie aufzuführen. Pegcetacoplan verfügt über eine Zulassung in den USA.<sup>7</sup> Durch die EMA wurde jedoch ein negatives Votum ausgesprochen. Der pU hat eine erneute Bewertung beantragt, die mit Datum von 19.09.2024 ebenfalls negativ bewertet wurde.<sup>8</sup>

### **2.6.3 Seltene Erkrankung**

Spezifische Medikamente für seltene Erkrankungen sollten berücksichtigt werden.

Beispielsweise muss Brolene bei Akanthamoeben-Keratitis importiert werden. Diese Erkrankung betrifft meist nur ein Auge, führt ohne effektive Behandlung zur Erblindung und ist sehr selten. Für derartige Fälle sollte der Leitfaden dem Gutachter die Möglichkeit geben, solche spezifischen und realitätsnahen medizinischen Bedürfnisse zu berücksichtigen.

#### **Bewertung:**

Für seltene Erkrankungen sind explizit keine Ausnahmen in der Gesetzgebung und der Rechtsprechung vorgesehen. Daher können auch in der sozialmedizinischen Begutachtung keine Ausnahmen gemacht werden.

---

<sup>7</sup> [https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/appletter/2023/217171Orig1s000ltr.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/appletter/2023/217171Orig1s000ltr.pdf), abgerufen am 02.08.2024

<sup>8</sup> <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/syfovre>, abgerufen am 02.08.2024

## 2.7 Deutsche Gesellschaft für Rheumatologie und klinische Immunologie (DGRh)

### 2.7.1 Patientenregister

In dem Begutachtungsleitfaden werden keine Patientenregister erwähnt. Die Daten aus Patientenregistern sollten jedoch nach Auffassung der DGRh berücksichtigt werden. Daten aus Patientenregistern können wertvolle Informationen zur Langzeitwirksamkeit und Sicherheit von Arzneimitteln liefern.

#### **Bewertung:**

Ein Patientenregister dient zur Erfassung von Patienten und deren Krankheitsverlauf, dabei werden über ein Datenbanksystem Patienten und deren Behandlungsdaten erfasst. Es handelt sich also in der Regel um die retrospektive Erfassung von Daten, sodass nach der Systematik des G-BA über Patientenregister maximal Untersuchungen nach der Evidenzstufe III möglich sind.

Für die Begutachtung von Importarzneimitteln nach § 73 Absatz 3 AMG ist ein abgestuftes Evidenzniveau bei notstandsähnlicher Fallkonstellation notwendig. Eine Evidenzstufe von III, aber auch niedriger ist ausreichend, wenn sich durch die Studien die positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf ableiten lässt und in diesem konkreten Einzelfall die Schwere der Erkrankung das entsprechende Evidenzniveau nach der BSG-Rechtsprechung rechtfertigt.<sup>9</sup>

Eine explizite Erwähnung von Patientenregistern ist nicht erforderlich. Patientenregister sollen in die Bewertung der Evidenzlage miteinbezogen werden.

---

<sup>9</sup> BSG-Urteil vom 04.04.2006, Az.: B 1 KR 7/05 R, zu Tomudex. Online:  
<https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/legacy/58149> [Zugriff am 06.08.2024]

### 2.7.2      **Legende zu A-1: Diagnose gesichert? (Seite 27, Zeilen 27 bis 28)**

Nach Auffassung der DGRh verbessern genauere Kriterien die Diagnosesicherheit und führen zu präziseren Begutachtungen.

#### *Änderungsvorschlag:*

Hierbei sollte geprüft werden, ob die Diagnose durch geeignete diagnostische Verfahren bestätigt wurde. Die Berücksichtigung international anerkannter Klassifikations- und Diagnosekriterien sowie aktuelle Leitlinien sollten berücksichtigt werden, um die Diagnose zu validieren.

#### **Bewertung:**

Der Fachgesellschaft ist insofern Recht zu geben, als dass genaue Kriterien zu einer einheitlichen Begutachtung führen. Jedoch kann nicht auf international anerkannte Klassifikations- und Diagnosekriterien verwiesen werden, da in Deutschland für das Leistungsrecht die ICD-10 in der aktuellen gültigen Fassung maßgeblich ist. Beispielsweise ist aber eine Klassifikation nach der DSM 5 nicht maßgeblich im deutschen Leistungsrecht.

Die grundsätzliche Anregung wird jedoch in den Begutachtungsleitfaden übernommen.

#### *Neue Formulierung:*

Es ist zu prüfen, ob die Diagnose ausreichend medizinisch gesichert ist beziehungsweise ob zumutbare und angemessene diagnostische Möglichkeiten ausgeschöpft sind. Sind die diagnostischen Möglichkeiten nicht ausgeschöpft und ist die Diagnose nicht eindeutig gesichert, kann die Leistung aus sozialmedizinischer Sicht nicht empfohlen werden. Eine weitere Diagnostik ist notwendig.

Die Diagnose soll durch geeignete diagnostische Verfahren bestätigt werden. Die Berücksichtigung in Deutschland gültiger anerkannter Klassifikations- und Diagnosekriterien sowie aktuelle Leitlinien sollten berücksichtigt werden, um die Diagnose zu validieren.

### 2.7.3 Lebensbedrohliche oder regelmäßig tödliche Erkrankung oder gleichgestellte Erkrankung? (Seite 38)

Für einzelne Substanzen sind nur gering chemisch modifizierte Varianten im Ausland erhältlich, welche aber die Verträglichkeit im Falle von Intoleranz verbessern. Beispiel: Colchicin Opocalcium beim familiären Mittelmeerfieber oder anderen Indikationen bei Unverträglichkeit von Colchicin (statt Umstellung auf die erheblich teureren IL-1-Antagonisten), in Deutschland nicht erhältlich, aber EU, Türkei u.a.<sup>10</sup>

#### *Änderungsvorschlag als Ergänzung:*

Ausnahmen sind Medikamente, welche sich von einem in Deutschland zugelassenen Medikament nur bezüglich einer die Verträglichkeit verbessernden chemischen Modifikation unterscheiden und, bei im Vergleich zu dem in Deutschland zugelassenen Präparat ähnlichen Kosten, die Umstellung auf hochpreisige Medikamente in der gleichen Indikation ersetzen.

#### **Bewertung:**

Die Gutachterinnen und Gutachter haben sich an sozialmedizinischen Kriterien zu orientieren, die sich aus Rechtsprechung und untergesetzlichen Normen ergeben. Eine Ausweitung dieser Kriterien ist nicht möglich.

Die Zulassung bestimmt sich aus der Prüfung der zuständigen Behörden auf die Qualität, Sicherheit und Unbedenklichkeit der Arzneimittel.

Wenn ein Arzneimittel mit einer chemischen Modifikation zentral oder im gegenseitigen Anerkennungsverfahren in der Europäischen Union zugelassen, aber in Deutschland nicht verfügbar ist, erfolgt die Begutachtung nach den Maßgaben des Algorithmus für einen Import nach § 73 Absatz 1 AMG. In der Legende zu B-4 wird dann mit Verweis auf die Wirtschaftlichkeit nach § 12 SGB V auch ausgeführt, dass bei Vorliegen einer Alternative eine detaillierte Begründung notwendig ist. Diese kann sich ja beispielsweise aus behandlungsbedürftigen Nebenwirkungen ergeben.

Bei Importen nach § 73 Absatz 3 AMG, wie beispielsweise bei Importen aus der Türkei, ist lediglich eine Begutachtung bei notstandsähnlicher Fallkonstellation möglich. Es sei hierzu auf die Herleitungen in dem Begutachtungsleitfaden verwiesen.

---

<sup>10</sup> Türkuçar, S.; Otar Yener, G.; Adigüzel Dundar, H. et al.: Comparison of different pharmaceutical preparations of colchicine in children with familial Mediterranean fever: Is colchicine opocalcium a good Alternative? Balkan Medical journal 38 (2021) Nr. 1, S. 29–33.

#### 2.7.4 **Legende zu Schritt B-4: Medizinischer Standardtherapie entsprechende Alternative verfügbar? (Seite 56, Zeilen 5 bis 11)**

Neue Substanzen haben i.d.R. nur Studienevidenz zu einer beschränkten Anzahl von Vergleichssubstanzen und ihre Überlegenheit nur in spezifischen Patientengruppen gezeigt. Beispiel: Voclosporin (VCS) bei Lupusnephritis mit Vorteilen nur in der Gruppe mit erheblicher Proteinurie. Vergleichsstudien existieren nur mit dem Therapiestandard Mycophenolat Mofetil plus Prednisolon, zum Teil in Kombination mit dem in dieser Indikation in D nicht zugelassenen CNI Tacrolimus. Eine Überlegenheit in dieser spezifischen Patientengruppe durch VCS im Vergleich zu Belimumab konnte nur im indirekten Vergleich der Studien aufgezeigt werden. Zu konventionellen Substanzen wie Hydroxychlorquin, Azathioprin oder Cyclophosphamid existieren keine entsprechenden Studien, sodass diese nicht als Standardtherapie und somit nicht als Therapiealternative gelten können.

##### *Alternativvorschlag:*

Unter Berücksichtigung des § 12 SGB V darf für Importarzneimittel nach § 73 Absatz 1 AMG keine Alternative mit **in Studien nachgewiesener** therapeutischer Vergleichbarkeit in Deutschland im Markt verfügbar sein, gegebenenfalls müsste eine detaillierte Begründung aus dem Antrag der Vertragsärztin/des Vertragsarztes hervorgehen. **Hierbei ist durch Gutachter:innen sowohl die individuelle Vortherapie und Kontraindikationen, wie auch spezifische therapeutische Vorteile des beantragten Medikaments gegenüber den Alternativen in bestimmten Patientengruppen zu berücksichtigen. Die therapeutischen Alternativen müssen dem aktuellen Stand der Medizin als Standardtherapie in der jeweiligen Indikation entsprechen.**

##### **Bewertung:**

Die einschlägige BSG-Rechtsprechung definiert die Alternativen als diejenigen, die nach derzeitigem Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis dem Versicherten zur Verfügung stehen. Dieses wurde zuletzt in dem BSG-Urteil vom 20.03.2024<sup>11</sup> noch einmal klargestellt. In dem Urteil wurden eng umschriebene Ausnahmen beschrieben, bei denen gegebenenfalls eine Alternative dennoch nicht in Frage kommen würde.

Eine andere Haltung kann durch den Medizinischen Dienst bei bestehender gefestigter Rechtsprechung nicht eingenommen werden.

---

<sup>11</sup> BSG Urteil vom 20.03.2024, Az.: B 1 KR 36/22 R, zu g-Strophanthin. Online: <https://www.sozialgerichtsbarkeit.de/node/176271> [Zugriff am 02.08.2024]