

Inhaltsverzeichnis

1 Einleitung	1
Teil I Hintergrund der frühen Nutzenbewertung	
2 Konstitutive Rahmenbedingungen	7
2.1 Rechtlicher Rahmen	7
2.2 Überblick über gesetzliche Änderungen seit Januar 2011	24
2.3 Wichtige Gerichtsurteile	33
2.4 Institutionenbezogener Rahmen	37
3 Beteiligte Institutionen	55
3.1 Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA)	56
3.2 Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)	60
3.3 Spitzenverband Bund der Krankenkassen (GKV-SV)	61
3.4 Kassenärztliche Bundesvereinigung (KBV)	62
3.5 Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	62
3.6 Gemeinsame Schiedsstelle nach § 130b SGB V	63
3.7 European Network for Health Technology Assessment (EUNetHTA)	64
3.8 Bundesministerium für Gesundheit (BMG)	66
3.9 European Medicines Agency (EMA)	66
3.10 Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) und Paul-Ehrlich-Institut (PEI)	68
Teil II Das Verfahren der frühen Nutzenbewertung aus Sicht des pharmazeutischen Unternehmers	
4 Dossiervorbereitung: Die Strategie klären	73
4.1 Prüfung der Dossierpflicht	73
4.2 Gap-Analyse	87

4.3	Erstattungsbetragssimulation	95
4.4	Strategieentwicklung	100
4.5	Beratungsgespräch	108
5	Dossiererstellung	125
5.1	Dossierkonzeption	125
5.2	Allgemeines zum Dossier	131
5.3	Modul 2 der Anlage II	134
5.4	Modul 3 der Anlage II	138
5.5	Modul 4 der Anlage II	151
5.6	Modul 1 der Anlage II	171
5.7	Modul 5 der Anlage II	176
5.8	Modul 1 Anhang der Anlage II	178
5.9	Qualitätssicherung	179
6	Bewertungsverfahren	187
6.1	Stellungnahmestrategie	187
6.2	Dossierbewertung	189
6.3	Schriftliche Stellungnahme	192
6.4	Mündliche Anhörung	195
6.5	Kommunikation	196
6.6	Beschluss	197
6.7	Ergebnisse	199
7	Verhandlung des Erstattungsbetrags	203
7.1	Erstattungsbetragsverhandlung	203
7.2	Veröffentlichung	229
7.3	Ergebnisse	229
7.4	Schiedsstelle	231
7.5	Klage	232
7.6	Überprüfung der Gesamtstrategie	234
8	Sonderfälle	235
8.1	Orphan Drugs	236
8.2	Festbetragsfähige Arzneimittel	245
8.3	Conditional approval	258
8.4	Exceptional approval	262
8.5	Arzneimittel für Kinder (PUMA und PiP)	265
8.6	ATMP	267
9	Weitere Formen der Erstbewertung sowie der Folgebewertung	273
9.1	Nutzenbewertung aufgrund eines Bestandsmarktaufrufs (§ 1 Absatz 2 Nr. 3 des 5. Kapitels der VerfO a.F.)	275

9.2	Nutzenbewertung bekannter Wirkstoffe mit neuer Zulassung und neuem Anwendungsgebiet auf Veranlassung durch den G-BA (§ 1 Absatz 2 Nr. 3 des 5. Kapitels der VerfO).....	277
9.3	Erstmals erstattungsfähige Wirkstoffe (§ 1 Absatz 2 Nr. 4 des 5. Kapitels der VerfO)	279
9.4	Erstbewertung wegen Wegfall der Freistellung	281
9.5	Folgebewertung wegen Indikationserweiterung (§ 1 Absatz 2 Nr. 2 des 5. Kapitels der VerfO).....	283
9.6	Folgebewertung wegen Indikationserweiterung im Bestandmarkt (§ 1 Absatz 2 Nr. 7 VerfO aF).....	287
9.7	Folgebewertung nach Fristablauf (§ 1 Absatz 2 Nr. 7 VerfO)	287
9.8	Folgebewertung wegen neuer Erkenntnisse auf Veranlassung des G-BA (§ 1 Absatz 2 Nr. 5 des 5. Kapitels der VerfO)	289
9.9	Folgebewertung wegen neuer wissenschaftlicher Erkenntnisse auf Veranlassung des pharmazeutischen Unternehmers (§ 1 Absatz 2 Nr. 6 VerfO)	291
9.10	Folgebewertung wegen Überschreitung 50 Mio. EUR	292
9.11	Folgebewertung wegen Wegfall des Orphan Drug Status	294
10	Ausblick	297