

Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V)

Eftrenonacog alfa (Neubewertung eines Orphan Drugs nach Überschreitung der 30 Mio. Euro Grenze (Hämophilie B))

Vom 1. Februar 2024

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 1. Februar 2024 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 1. Februar 2024 (BAnz AT 23.02.2024 B3) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

I. Die Anlage XII wird wie folgt geändert:

- 1. Die Angaben zu Eftrenonacog alfa in der Fassung des Beschlusses vom 15. Dezember 2016 (BAnz AT 13.02.2017 B2) werden aufgehoben.**
- 2. Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Eftrenonacog alfa wie folgt ergänzt:**

Eftrenonacog alfa

Beschluss vom: 1. Februar 2024
In Kraft getreten am: 1. Februar 2024
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 12. Mai 2016):

Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel). Alprolix kann bei allen Altersgruppen angewendet werden.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 1. Februar 2024):

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Eftrenonacog alfa:

- rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Eftrenonacog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹**Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B**

Es wurden keine geeigneten Daten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Morbidität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Nebenwirkungen	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

2. Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen**Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B**

ca. 560 – 720 Patientinnen und Patienten

3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Alprolix (Wirkstoff: Eftrenonacog alfa) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 15. Januar 2024):

https://www.ema.europa.eu/documents/product-information/alprolix-epar-product-information_de.pdf

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Eftrenonacog alfa soll durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit Hämophilie B erfahrene Ärztinnen und Ärzte erfolgen.

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A23-77), sofern nicht anders indiziert.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient	
Zu bewertendes Arzneimittel:		
Eftrenonacog alfa	Erwachsene	428 748,61 € - 581 809,27 €
	12 bis < 18 Jahre	238 742,00 € - 499 026,18 €
	6 bis < 12 Jahre	121 064,25 € - 263 353,00 €
	0 bis < 6 Jahre	48 735,38 € - 145 188,63 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:		
<i>rekombinante Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate</i>		
Albutrepenonacog alfa		
	Erwachsene	283 527,16 € - 393 557,60 €
	12 bis < 18 Jahre	154 904,76 € - 347 656,66 €
	6 bis < 12 Jahre	87 986,48 € - 195 540,68 €
	0 bis < 6 Jahre	44 450,68 € - 110 454,08 €
Nonacog alfa		
	Erwachsene	329 908,90 € - 439 758,08 €
	12 bis < 18 Jahre	189 332,46 € - 375 173,11 €
	6 bis < 12 Jahre	96 053,08 € - 225 482,11 €
	0 bis < 6 Jahre	48 452,00 € - 128 035,70 €
Nonacog beta pegol		
	Erwachsene	323 509,22 €
	12 bis < 18 Jahre	183 309,16 € - 276 413,95 €
	6 bis < 12 Jahre	93 104,78 € - 183 309,16 €
	0 bis < 6 Jahre	47 095,27 € - 93 104,78 €
Nonacog gamma		
	Erwachsene	321 706,51 € - 644 058,31 €
	12 bis < 18 Jahre	184 667,95 € - 553 651,03 €
	6 bis < 12 Jahre	93 645,50 € - 428 824,55 €
	0 bis < 6 Jahre	47 246,84 € - 219 860,79 €
<i>aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate</i>		
Human-plasmatische Präparate ²	Erwachsene	157 629,45 € - 368 266,63 €
	12 bis < 18 Jahre	78 814,73 € - 315 172,58 €

² Kostendarstellung basierend auf den Angaben der Fachinformation zu Alphanine. Es sind weitere Fertigarzneimittel verfügbar.

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient	
	6 bis < 12 Jahre	39 831,45 € - 210 115,05 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Januar 2024)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

5. Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können

Im Rahmen der Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V werden die folgenden Feststellungen getroffen:

Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B

- Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.

Die Benennung von Kombinationen dient ausschließlich der Umsetzung des Kombinationsabschlages nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmern. Die getroffenen Feststellungen schränken weder den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum ein, noch treffen sie Aussagen über Zweckmäßigkeit oder Wirtschaftlichkeit.

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 1. Februar 2024 in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 1. Februar 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken