

IQWiG-Berichte – Nr. 749

Bedaquilin (multiresistente Tuberkulose) –

**Bewertung gemäß
§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V**

Dossierbewertung

Auftrag: G19-01
Version: 1.0
Stand: 10.04.2019

Impressum

Herausgeber:

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema:

Bedaquilin (multiresistente Tuberkulose) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber:

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags:

15.01.2019

Interne Auftragsnummer:

G19-01

Anschrift des Herausgebers:

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Im Mediapark 8
50670 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: berichte@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Medizinisch-fachliche Beratung:

Für die vorliegende Dossierbewertung stand keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen zur Verfügung.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG:

- Corinna ten Thoren
- Astrid Seidl
- Sarah Mostardt

Schlagwörter: Bedaquilin, Tuberkulose – multiresistente, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords: Bedaquiline, Tuberculosis – Multidrug-Resistant, Health Care Costs, Epidemiology

Inhaltsverzeichnis

| | Seite |
|--|-----------|
| Tabellenverzeichnis | iv |
| Abkürzungsverzeichnis..... | v |
| 1 Hintergrund..... | 1 |
| 1.1 Verlauf des Projekts..... | 1 |
| 1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs | 2 |
| 2 Nutzenbewertung | 3 |
| 3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie | 4 |
| 3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2) | 4 |
| 3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation..... | 4 |
| 3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation | 4 |
| 3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)..... | 6 |
| 3.2.1 Behandlungsdauer | 6 |
| 3.2.2 Verbrauch | 6 |
| 3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels | 6 |
| 3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen..... | 7 |
| 3.2.5 Jahrestherapiekosten..... | 7 |
| 3.2.6 Versorgungsanteile | 7 |
| 3.3 Konsequenzen für die Bewertung..... | 7 |
| 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung..... | 8 |
| 4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete..... | 8 |
| 4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie | 8 |
| 4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen..... | 8 |
| 4.4 Kosten der Therapie für die GKV..... | 9 |
| 4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung | 9 |
| 5 Literatur | 10 |

Tabellenverzeichnis

| | Seite |
|--|--------------|
| Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation..... | 8 |
| Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin bzw. Patient..... | 9 |

Abkürzungsverzeichnis

| Abkürzung | Bedeutung |
|------------------|---|
| AM-NutzenV | Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung |
| BMG | Bundesministerium für Gesundheit |
| DDD | Defined daily Dose |
| G-BA | Gemeinsamer Bundesausschuss |
| GKV | gesetzliche Krankenversicherung |
| IQWiG | Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen |
| MDR-TB | multi-drug-resistant Mycobacterium tuberculosis (multiresistente pulmonale Tuberkulose) |
| pU | pharmazeutischer Unternehmer |
| RKI | Robert Koch-Institut |
| SGB | Sozialgesetzbuch |
| VerfO | Verfahrensordnung |

1 Hintergrund

Bedaquilin ist ein Arzneimittel zur Behandlung der multiresistenten pulmonalen Tuberkulose. Bedaquilin ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels innerhalb der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) binnen 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt zu werden.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

- zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und
- zu den Kosten der Therapie für die GKV

zu bewerten.

1.1 Verlauf des Projekts

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG.

Für die vorliegende Bewertung war die Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) vorgesehen. Allerdings konnten keine externen Sachverständigen, die die notwendigen Voraussetzungen (fachlich-klinische und -wissenschaftliche Expertise, keine gravierenden Interessenkonflikte, kurzfristige zeitliche Verfügbarkeit) erfüllen, über die vorgesehenen Prozesse identifiziert werden.

Bei der Kommentierung der Angaben im Dossier des pU werden die Anforderungen berücksichtigt, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossievorlagen beschrieben sind (siehe VerFO des G-BA [1]).

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

¹ Nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Nutzenbewertung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Aus diesem Grund ist die Bewertung des Zusatznutzens nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die multiresistente pulmonale Tuberkulose beschreibt der pU nachvollziehbar und plausibel. Laut Fach- und Gebrauchsinformation wird Bedaquilin bei erwachsenen Patientinnen und Patienten als Teil einer geeigneten Kombinationstherapie der multiresistenten pulmonalen Tuberkulose (multi-drug-resistant Mycobacterium tuberculosis [MDR-TB]) angewendet, wenn ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann. Die offiziellen Leitlinien für den angemessenen Gebrauch von antibakteriellen Wirkstoffen sind dabei zu berücksichtigen [2].

3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Der pU berechnet die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte:

1.) Patientinnen und Patienten mit MDR-TB im Jahr 2019

Der pU gewinnt Informationen zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit MDR-TB aus einem Bericht des Robert Koch-Instituts (RKI) zur Epidemiologie der Tuberkulose in Deutschland für 2017 [3]. Tuberkulose gehört zu den meldepflichtigen Erkrankungen in Deutschland. Dennoch kann die Datengrundlage, wie der pU selbst darstellt, Limitationen aufgrund von unvollständigen Fallmeldungen aufweisen. Auch können bei gemeldeten Fällen Informationen beispielsweise zur Resistenzlage oder zum Behandlungsergebnis fehlen. Der pU entnimmt der Quelle Angaben zur Anzahl der gemeldeten Fälle neu erkrankter Patientinnen und Patienten mit MDR-TB in den Jahren 2008 bis 2017. Basierend auf diesen Angaben berechnet er eine durchschnittliche jährliche Wachstumsrate von 9,29 %. Unter der Annahme, dass diese Wachstumsrate in den nachfolgenden Jahren konstant bleibt, berechnet der pU eine Zahl von 130 Patientinnen und Patienten mit MDR-TB im Jahr 2019 als Untergrenze einer Spanne.

Der pU geht davon aus, dass die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit MDR-TB im Bericht des RKI zur Epidemiologie der Tuberkulose in Deutschland für 2017 [3] nicht vollständig sind. Dies belegt er damit, dass in diesem Bericht von allen 5486 erfassten Tuberkulose-Erkrankungen nur in 3607 Fällen (entspricht rund 66 %) Angaben zur Resistenzlage verfügbar sind. Unter Berücksichtigung der fehlenden Fälle und der genannten mittleren Wachstumsrate für das Jahr 2019 berechnet der pU 197 Patientinnen und Patienten mit MDR-TB als Obergrenze der Spanne.

2.) Erwachsene mit MDR-TB

Der pU gibt an, dass in den Angaben des RKI zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit MDR-TB [3] ein Anteil von 15,6 % Kinder und Jugendliche unter 18 Jahren enthalten ist. Diese Angabe entnimmt er ebenfalls Daten des RKI, die auf seine Anfrage hin vom RKI übermittelt worden sind. Unter Abzug dieses Anteils der Kinder und Jugendlichen berechnet der pU 110 bis 166 Erwachsene mit MDR-TB.

3.) Patientinnen und Patienten mit pulmonaler MDR-TB

Dem Bericht des RKI [3] ist zu entnehmen, dass in 5267 Fällen Angaben zum hauptsächlich betroffenen Organsystem vorliegen. Von diesen liegt in 1375 Fällen (26,1%) eine extrapulmonale Tuberkulose vor. Unter der Annahme, dass sich diese Angaben auch auf erwachsene Patientinnen und Patienten mit MDR-TB übertragen lassen, reduziert der pU die in Schritt 2 berechnete Anzahl der Erwachsenen mit MDR-TB um diesen Anteil und berechnet so 81 bis 122 Fälle mit pulmonaler MDR-TB.

Ausgehend von einem Anteil von 87,2 % gesetzlich Versicherter [4,5] berechnet der pU somit insgesamt 71 bis 106 erwachsene Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

Bewertung des Vorgehens des pU

Die Berechnung des Umfangs der Zielpopulation von Bedaquilin durch den pU ist überwiegend nachvollziehbar, allerdings mit Unsicherheit behaftet und stellt in der Gesamtschau eine Überschätzung dar: Laut Fachinformation [2] ist Bedaquilin für Patientinnen und Patienten mit MDR-TB indiziert, bei denen ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann. Hiermit sind Patientinnen und Patienten mit MDR-TB, bei denen ein wirksames Behandlungsregime ohne Beteiligung von Bedaquilin zusammengestellt werden kann, nicht Teil der Zielpopulation. Angaben zum Anteil dieser Patientengruppe fehlen in Modul 3A des Dossiers, sodass das Ausmaß einer Überschätzung der Zielpopulation nicht beziffert werden kann.

Unsicherheiten ergeben sich aus der Datenlage sowie dem Vorgehen des pU in einzelnen Berechnungsschritten:

In Berechnungsschritt 1 ermittelt der pU die Obergrenze der Spanne, indem er die unvollständigen Angaben zur Resistenzlage im Bericht des RKI [3] unter Berücksichtigung der fehlenden Fälle hochrechnet. Diesem Vorgehen liegt die Annahme zugrunde, dass sich der Anteil multiresistenter Fälle in den gemeldeten Fällen auf die nicht gemeldeten Fälle übertragen lässt. Ob diese Annahme korrekt ist oder zu einer Über- oder Unterschätzung der Obergrenze der Spanne führt, kann anhand der Angaben in Modul 3 A des Dossiers nicht beurteilt werden.

In Berechnungsschritt 2 gibt der pU einen Anteil von 15,6 % Kinder und Jugendliche an allen MDR-TB Fällen an. Diese Angabe beruht auf einer zusätzlichen Information des RKI an den pU, die im Dossier nicht als Quelle einsehbar ist, und lässt sich daher anhand der vom pU mitgelieferten Quellen nicht vollständig nachvollziehen.

In Berechnungsschritt 3 trifft der pU die Annahme, dass sich der Anteil der Fälle mit pulmonaler Tuberkulose an allen Fällen mit Tuberkulose auf Patientinnen und Patienten mit MDR-TB übertragen lässt. Das Ausmaß der Unsicherheit, das aus diesem Vorgehen resultiert, kann ebenfalls anhand der Angaben in Modul 3 des Dossiers nicht beurteilt werden.

Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU geht bei einer konstanten durchschnittlichen jährlichen Wachstumsrate von 9,29 % von einem konstanten Anstieg der Fallzahlen für MDR-TB in den nächsten 5 Jahren aus. Die durchschnittliche jährliche Wachstumsrate berechnet der pU basierend auf den Angaben zur Inzidenz von Patientinnen und Patienten mit MDR-TB in den Jahren 2008 bis 2017 [3].

3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

Der pU stellt neben dem zu bewertenden Arzneimittel Bedaquilin auch die Kosten möglicher Kombinationspartner dar. Hierbei wählt er die Wirkstoffe Protionamid, Terizidon und Para-Aminosalicylsäure (in oraler Darreichungsform). Die Kombination der Wirkstoffe zur Behandlung der MDR-TB erfolgt patientenindividuell unterschiedlich [6]. Im Folgenden werden deshalb nur die Kosten von Bedaquilin bewertet.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer entsprechen den Angaben in der Fachinformation [2]. Hiernach wird Bedaquilin in den ersten 2 Behandlungswochen täglich und in Behandlungswoche 3 bis 24 3-mal pro Woche verabreicht.

3.2.2 Verbrauch

Der pU gibt den Verbrauch von Bedaquilin sowohl entsprechend der Fachinformation [2] als auch in Defined daily Dose (DDD) an und legt der Kostenberechnung den Verbrauch nach DDD, ohne Berücksichtigung von Verwurf, zugrunde.

Bei eigener Berechnung des Verbrauchs entsprechend den Angaben in der Fachinformation ergibt sich in den ersten beiden Behandlungswochen ein täglicher Verbrauch von 400 mg Bedaquilin (entspricht 4 Tabletten zu je 100 mg täglich) und in den Wochen 3 bis 24 ein Verbrauch von 200 mg (entspricht 2 Tabletten zu je 100 mg) 3-mal pro Woche. Insgesamt berechnet sich hieraus ein Verbrauch von 188 Tabletten zu je 100 mg für die gesamte Behandlung. Dies entspricht mit Verwurf 8 Packungen zu je 24 Tabletten Bedaquilin.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe zum 01.12.2018 wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an mit dem Argument, dass keine Unterschiede in der Inanspruchnahme dieser Leistungen zu den in der Leitlinie [6] genannten Basis- und Verlaufsuntersuchungen bestehen.

Laut Fachinformation [2] sollte vor Behandlungsbeginn mit Bedaquilin und danach mindestens einmal monatlich ein Elektrokardiogramm (EKG) gemacht werden. Die Serum-Kalium-, -Calcium- und -Magnesiumwerte sollten vor Behandlungsbeginn bestimmt werden. Weiterhin sollten die Leberfunktionsparameter (AST, ALT, alkalische Phosphatase und Bilirubin) vor der Behandlung und monatlich sowie bei Bedarf während der Behandlung kontrolliert werden.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU berechnet Jahrestherapiekosten für Bedaquilin in Höhe von 24 633,72 €

Die Angaben des pU zu den Jahrestherapiekosten sind unterschätzt, da der pU nicht den Verbrauch laut Fachinformation zugrunde legt und Verwurf unberücksichtigt bleibt.

Eigene Berechnungen, unter Berücksichtigung der Verbrauchsangaben in der Fachinformation [2] sowie von Verwurf, ergeben Jahrestherapiekosten in Höhe von 32 735,84 €

3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU benennt Kontraindikationen sowie Wirkstoffe, deren gemeinsame Gabe mit Bedaquilin laut Fachinformation [2] nicht empfohlen sind. Er geht davon aus, dass sich aufgrund der hochgradig patientenindividuellen Therapie eine Limitation des Versorgungsanteils ergibt, ohne diesen zu beziffern.

3.3 Konsequenzen für die Bewertung

Die Berechnung des Umfangs der Zielpopulation von Bedaquilin stellt in der Gesamtschau eine Überschätzung dar, da Bedaquilin laut Fachinformation [2] nur für Patientinnen und Patienten mit MDR-TB indiziert ist, bei denen ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann. Hiermit sind Patientinnen und Patienten, bei denen ein wirksames Behandlungsregime ohne Beteiligung von Bedaquilin zusammengestellt werden kann, nicht Teil der Zielpopulation.

Die Angaben des pU zu den Jahrestherapiekosten sind unterschätzt, da der pU nicht den Verbrauch laut Fachinformation zugrunde legt und Verwurf unberücksichtigt bleibt.

4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Bedaquilin wird bei erwachsenen Patientinnen und Patienten als Teil einer geeigneten Kombinationstherapie der MDR-TB angewendet, wenn ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann.

4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

| Bezeichnung der Therapie | Bezeichnung der Patientengruppe | Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a | Kommentar |
|--|---|--|---|
| Bedaquilin (als Teil einer geeigneten Kombinationstherapie) | Erwachsene Patientinnen und Patienten mit MDR-TB, bei denen ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann | 71–106 | Die Berechnung des Umfangs der Zielpopulation stellt in der Gesamtschau eine Überschätzung dar. Laut Fachinformation [2] ist Bedaquilin nur für Patientinnen und Patienten mit MDR-TB indiziert, bei denen ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann. |

a: Angabe des pU
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; MDR-TB: multiresistente pulmonale Tuberkulose (multi-drug-resistant Mycobacterium tuberculosis); pU: pharmazeutischer Unternehmer

4.4 Kosten der Therapie für die GKV

Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin bzw. Patient

| Bezeichnung der Therapie | Bezeichnung der Patientengruppe | Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in € | Kommentar |
|---|---|---|---|
| Bedaquilin (als Teil einer geeigneten Kombinationstherapie) | Erwachsene Patientinnen und Patienten mit MDR-TB, bei denen ein wirksames Behandlungsregime aufgrund von Resistenz oder Unverträglichkeit nicht anders zusammengestellt werden kann | 24 633,72 (+ Kosten für andere Wirkstoffe einer geeigneten Kombinationstherapie) | Die Kombination der Wirkstoffe zur Behandlung der MDR-TB erfolgt patientenindividuell unterschiedlich [6]. Die Angaben des pU zu den Jahrestherapiekosten sind unterschätzt, da der pU nicht den Verbrauch laut Fachinformation zugrunde legt und Verwurf unberücksichtigt bleibt. Eigene Berechnungen unter Berücksichtigung der Verbrauchsangaben in der Fachinformation [2] sowie von Verwurf ergeben Jahrestherapiekosten in Höhe von 32 735,84 € |
| a: Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; MDR-TB: multiresistente pulmonale Tuberkulose (multi-drug-resistant Mycobacterium tuberculosis); pU: pharmazeutischer Unternehmer | | | |

4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Der entsprechende Auftrag des G-BA an das IQWiG beschränkt sich darauf, das Dossier des pU allein im Hinblick auf die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und zu den Kosten der Therapie für die GKV zu bewerten. Die Angaben des pU zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung bleiben daher in der vorliegenden Dossierbewertung unberücksichtigt.

5 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/informationen/richtlinien/42/>.
2. Janssen-Cilag International. SIRTURO 100 mg Tabletten: Fachinformation [online]. 03.2018 [Zugriff: 13.08.2018]. URL: <http://www.fachinfo.de>.
3. Robert Koch-Institut. Bericht zur Epidemiologie der Tuberkulose in Deutschland für 2017. Berlin: RKI; 2018. URL: https://www.rki.de/DE/Content/InfAZ/T/Tuberkulose/Download/TB2017.pdf?__blob=publicationFile.
4. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung: Kennzahlen und Faustformeln [online]. 06.2018 [Zugriff: 05.09.2018]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Kennzahlen_Daten/KF2018Bund_Juni-2018.pdf.
5. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung auf Grundlage des Zensus 2011: Bevölkerung nach Geschlecht und Staatsangehörigkeit; 30.09.2017 [online]. [Zugriff: 05.09.2018]. URL: https://www.destatis.de/DE/ZahlenFakten/GesellschaftStaat/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/Tabellen/Zensus_Geschlecht_Staatsangehoerigkeit.html.
6. Schaberg T, Bauer T, Brinkmann F, Diel R, Feiterna-Sperling C, Haas W et al. S2k-Leitlinie: Tuberkulose im Erwachsenenalter; eine Leitlinie zur Diagnostik und Therapie, einschließlich Chemoprävention und -prophylaxe des Deutschen Zentralkomitees zur Bekämpfung der Tuberkulose e.V. im Auftrag der Deutschen Gesellschaft für Pneumologie und Beatmungsmedizin e.V. Pneumologie 2017; 71(6): 325-397.