



# Pressemitteilung

Gemeinsamer Bundesausschuss gemäß § 91 SGB V

Nr. 05 / 2021

Arzneimittel

## Neue Arzneimitteltherapie bei Mukoviszidose: G-BA vergibt Bestnote

**Berlin, 18. Februar 2021** – Für die Behandlung von Mukoviszidose, einer seltenen Stoffwechselerkrankung, ist eine neue medikamentöse Kombinationstherapie in der Versorgung, die nach Einschätzung des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) deutlich bessere Ergebnisse als die bislang verwendeten Kombinationstherapien erzielt. Geprüft wurde eine Kombinationstherapie bei Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren, bei denen bestimmte Mutationen in dem Gen bestehen, das die Mukoviszidose verursacht. Der G-BA sieht hier für die neue Wirkstoffkombination mit dem Handelsnamen Kaftrio® und dem Wirkstoff Ivacaftor einen erheblichen Zusatznutzen im Vergleich zu anderen Therapieoptionen. Ein erheblicher Zusatznutzen ist die höchstmögliche Bewertungskategorie, die dem G-BA zur Verfügung steht. Auf Basis der detaillierten Ergebnisse werden der pharmazeutische Unternehmer und der GKV-Spitzenverband die Erstattungsbeträge vereinbaren, die dann ab 1. September 2021 gelten. Derzeit zahlt die gesetzliche Krankenversicherung den vom Hersteller eigenständig aufgerufenen Preis. In Deutschland leben ca. 8 000 Patientinnen und Patienten mit Mukoviszidose. 2 400 davon sind älter als 12 Jahre und kommen für die neue Therapie in Frage.

„Die von uns geprüfte Kombinationstherapie mit Ivacaftor kann bei den behandelten Patientinnen und Patienten sehr gute Ergebnisse erzielen: So kommt es in den Studien deutlich seltener zu pulmonalen Exazerbationen, also akuten Verschlechterungen der Lungensymptomatik, die oftmals zu Krankenhauseinweisungen führen und sich ungünstig auf den Krankheitsverlauf auswirken. Hoch relevant für die Patientinnen und Patienten ist auch, dass wir in vielen weiteren patientenberichteten Endpunkten und in allen messbaren Aspekten der Lebensqualität Vorteile gesehen haben. Beispielsweise beim körperlichen Wohlbefinden, der Vitalität und der Gefühlslage“, betonte Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA. „Dass wir einem Arzneimittel einen erheblichen Zusatznutzen bescheinigen können, kommt nicht häufig vor: Das war bislang nur dreimal der Fall. Die Besonderheit bei der bewerteten Kombinationstherapie bei Mukoviszidose – einem Orphan Drug – ist zudem, dass das Ergebnis bereits auf ausführlichen vergleichenden Studiendaten beruht und wir eine ganz reguläre Nutzenbewertung gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgenommen haben. Der pharmazeutische Unternehmer hatte dem G-BA trotz des gesetzlichen Orphan-Drug-Privilegs gleich ein vollständiges Dossier vorgelegt, und eben nicht nur Zulassungsstudien. Als bereits vier Monate nach Inverkehrbringen

Seite 1 von 3

Stabsabteilung Öffentlichkeits-  
arbeit und Kommunikation

Gutenbergstraße 13, 10587 Berlin  
Postfach 120606, 10596 Berlin

Telefon: 030 275838-811

Fax: 030 275838-805

E-Mail: [presse@g-ba.de](mailto:presse@g-ba.de)

[www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)

[www.g-ba.de/presse-rss](http://www.g-ba.de/presse-rss)

Ansprechpartnerinnen  
für die Presse:

Ann Marini (Ltg.)

Gudrun Köster

Annette Steger



die Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro überschritten wurde, bis zu der das Orphan-Drug-Privileg anwendbar ist, war uns unmittelbar eine tiefgehende Bewertung möglich.“

### **Mukoviszidose – eine seltene, fortschreitende Stoffwechselerkrankung**

Bei der Mukoviszidose (cystische Fibrose) verursachen Fehler im sogenannten CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator, CFTR) die Bildung von zähem Schleim. Dies kann bei den Betroffenen die Funktion vieler Organe – insbesondere der Lunge und der Bauchspeicheldrüse – zunehmend beeinträchtigen. Bislang gibt es keine Möglichkeiten der Heilung. Die Behandlung ist in erster Linie darauf gerichtet, die vielfältigen Symptome zu lindern, Komplikationen zu verhindern und so die Lebenserwartung der Erkrankten zu erhöhen.

### **Hintergrund – Zusatznutzen von Orphan Drugs**

Der G-BA bewertet neue Arzneimittel oder Arzneimittel mit neuen Anwendungsgebieten auf ihren Zusatznutzen gegenüber einer zweckmäßigen Vergleichstherapie. Die Ergebnisse dieser frühen Nutzenbewertung sind die Basis für den Erstattungsbetrag zulasten der gesetzlichen Krankenversicherung.

Nach dem Willen des Gesetzgebers gilt der Zusatznutzen bei Orphan Drugs – Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen – generell als belegt. Der G-BA darf nur bewerten, wie groß das Ausmaß des Zusatznutzens ist. Dafür gibt es folgende [Kategorien](#): gering, beträchtlich, erheblich oder nicht quantifizierbar. Das Ausmaß des Zusatznutzens kann lediglich anhand der Zulassungsunterlagen nachgewiesen werden.

Übersteigt ein Orphan Drug jedoch die gesetzlich festgelegte Umsatzschwelle mit der gesetzlichen Krankenversicherung von 50 Mio. Euro in den letzten zwölf Monaten, greift auch hier das reguläre Verfahren der frühen Nutzenbewertung. Der pharmazeutische Unternehmer ist dann aufgefordert, ein vollständiges Dossier zur medizinischen Zusatznutzenbewertung im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorzulegen. Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) wertet im Auftrag des G-BA das Dossier hinsichtlich der Frage aus, ob ein Zusatznutzen vorhanden ist und in welchem Ausmaß. Auf der Basis des IQWiG-Berichts berät der G-BA abschließend über das Bewertungsergebnis.

Weitere Information finden Sie auf der Website des G-BA unter [Nutzenbewertung von Arzneimitteln](#).

Alle Dokumente zu laufenden und abgeschlossenen Nutzenbewertungsverfahren finden Sie unter [Verfahren der Nutzenbewertung](#).



Der **Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA)** ist das oberste Beschlussgremium der gemeinsamen Selbstverwaltung der Ärztinnen und Ärzte, Zahnärztinnen und Zahnärzte, Psychotherapeutinnen und Psychotherapeuten, Krankenhäuser und Krankenkassen in Deutschland. Er bestimmt in Form von Richtlinien den Leistungskatalog der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) für etwa 73 Millionen Versicherte. Der G-BA legt fest, welche Leistungen der medizinischen Versorgung von der GKV übernommen werden. Rechtsgrundlage für die Arbeit des G-BA ist das Fünfte Buch des Sozialgesetzbuches (SGB V). Entsprechend der Patientenbeteiligungsverordnung nehmen Patientenvertreterinnen und Patientenvertreter an den Beratungen des G-BA mitberatend teil und haben ein Antragsrecht.

Den gesundheitspolitischen Rahmen der medizinischen Versorgung in Deutschland gibt das Parlament durch Gesetze vor. Aufgabe des G-BA ist es, innerhalb dieses Rahmens einheitliche Vorgaben für die konkrete Umsetzung in der Praxis zu beschließen. Die von ihm beschlossenen Richtlinien haben den Charakter untergesetzlicher Normen und sind für alle Akteure der GKV bindend.

Bei seinen Entscheidungen berücksichtigt der G-BA den allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse und untersucht den diagnostischen oder therapeutischen Nutzen, die medizinische Notwendigkeit und die Wirtschaftlichkeit einer Leistung aus dem Pflichtkatalog der Krankenkassen. Zudem hat der G-BA weitere wichtige Aufgaben im Bereich des Qualitätsmanagements und der Qualitätssicherung in der ambulanten und stationären Versorgung.

Weitere Informationen finden Sie unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de).