



Pressemitteilung

Gemeinsamer Bundesausschuss gemäß § 91 SGB V

Nr. 39 / 2021

Arzneimittel

Arzneimittel gegen seltene Krankheiten: Gentherapie Libmeldy® zeigt Zusatznutzen – Zelltherapie Zolgensma® dagegen nicht

Berlin, 4. November 2021 – Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat heute den Zusatznutzen für zwei Wirkstoffe gegen sehr seltene, schwerwiegende, genetisch bedingte Erkrankungen bei Kindern bewertet. Einen erheblichen Zusatznutzen sieht er bei der Zelltherapie Libmeldy®, die gegen die Stoffwechselstörung metachromatische Leukodystrophie (MLD) bei erkrankten, aber noch symptomfreien Kindern eingesetzt wird. Anders bei der Gentherapie Zolgensma®, die gegen spinale Muskelatrophie (SMA) zugelassen ist. Anhand der verfügbaren Daten hat der G-BA für keine Patientengruppe einen Zusatznutzen gegenüber der Vergleichstherapie festgestellt.

Libmeldy® hat das vereinfachte Nutzenbewertungsverfahren für Orphan Drugs durchlaufen. Der Zusatznutzen gilt bei Orphan Drugs, also Arzneimitteln gegen seltene Leiden, generell bis zu einer Umsatzschwelle von 50 Mio. Euro als gesetzt. Ein direkter Vergleich mit einer Therapiealternative findet hier nicht statt. Der G-BA bewertete bei Libmeldy® entsprechend nur das Ausmaß und die Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzen. Basis für die Entscheidung des G-BA waren die Zulassungsunterlagen sowie eine spezifische Geschwisterkind-Analyse. Bei einem sehr frühen Behandlungsbeginn mit Libmeldy®, wenn die Kinder noch ohne Symptome sind, konnte der G-BA einen erheblichen Zusatznutzen in Bezug auf Bewegungsbeeinträchtigungen ableiten. „Den Beschluss zu Libmeldy® hat der G-BA befristet, da noch die finale Auswertung zu der vorgelegten Studie erwartet wird. Mit den zusätzlichen Daten wollen wir das Arzneimittel erneut bewerten, um Erkenntnisse für den langfristigen Einsatz bei Patientinnen und Patienten mit Krankheitssymptomen zu bekommen. Die Stoffwechselkrankheit metachromatische Leukodystrophie ist derzeit nicht heilbar, auch nicht mit dem neuen Wirkstoff. Aber wir haben jetzt zumindest eine Option, die den betroffenen Kindern ermöglicht, mit weniger körperlichen Beeinträchtigungen zu leben. Auch das ist ein Gewinn“, so Prof. Josef Hecken, unparteiischer Vorsitzender des G-BA und Vorsitzender des Unterausschusses Arzneimittel.

Mit Zolgensma® beschäftigte sich der G-BA bereits mehrfach. Das erste Nutzenbewertungsverfahren war Ende 2020 eingestellt worden, da die Umsätze sehr schnell über 50 Mio. Euro gestiegen waren. Das hieß: Das Orphan-Privileg fiel bei der Nutzenbewertung weg. Die gesetzlichen Vorgaben sehen in solchen Fällen einen direkten Vergleich gegenüber einer

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

www.g-ba.de

www.g-ba.de/presse-rss

Ansprechpartnerinnen
für die Presse:

Ann Marini (Ltg.)

Gudrun Köster

Annette Steger



zweckmäßigen Vergleichstherapie vor. Der G-BA nutzte dafür die vorhandene Studienlage und die vom Hersteller übermittelten Daten. Einen Zusatznutzen konnte er damit nicht begründen. „Der heutige Beschluss zu Zolgensma® wird mit großer Wahrscheinlichkeit nur vorläufig sein“, stellt Hecken in Aussicht. „Nach unseren bisherigen Planungen wird der G-BA spätestens ab Sommer 2027 erneut über Zolgensma® beraten. Dann haben wir hoffentlich Informationen aus dem Behandlungsalltag, um Aussagen zum langfristigen Zusatznutzen treffen zu können. Die Vorbereitungen zur anwendungsbegleitenden Datenerhebung laufen bereits. Auch wenn Familien mit erkrankten Kindern und die behandelnden Ärztinnen und Ärzte auf ein besseres Ergebnis bei Zolgensma® gehofft haben, ist mit dem Beschluss ausdrücklich keine Einschränkung der Versorgung verbunden. Das Arzneimittel kann im Rahmen seiner Zulassung und unter Einhaltung der qualitätssichernden Standards weiterhin verordnet und eingesetzt werden.“

Seltene Krankheiten: spinale Muskelatrophie und Stoffwechselkrankheit MDL

Die Patientengruppe, die an spinaler Muskelatrophie (SMA) leidet, ist sehr klein. Jährlich werden in Deutschland ca. 80 bis 120 Kinder mit dieser genetisch bedingten Krankheit geboren. Die SMA geht einher mit Muskelschwäche und Skelettverformungen. Sie führt in der schwersten Form unbehandelt zum Tod. Im Gegensatz zu Therapiealternativen, die regelmäßig verabreicht werden müssen, wird Zolgensma® einmalig angewendet. Das Arzneimittel zielt darauf ab, eine fortschreitende Muskelschwäche aufzuhalten, eine vollständige Heilung ist damit nicht verbunden. Die Kosten für die einmalige Anwendung liegen bei ca. 2,3 Mio. Euro.

Die metachromatische Leukodystrophie (MDL) wird durch einen Gendefekt verursacht. In Deutschland sind pro Jahr etwa 1 bis 3 Patientinnen und Patienten betroffen. Menschen mit MDL bilden ein bestimmtes Enzym fehlerhaft aus. Dadurch wird das Nervensystem massiv geschädigt. Die Erkrankung kann in jedem Alter auftreten, oft aber bereits bei Kindern. Die betroffenen Kinder verlieren nach und nach ihre motorischen und geistigen Fähigkeiten, bis sie schließlich an der Krankheit sterben. Die Therapie mit Libmeldy® beruht auf einer einmaligen Anwendung und kostet derzeit 2,8 Mio. Euro.

Inkrafttreten der Beschlüsse

Die Beschlüsse zu Libmeldy® (Wirkstoff Atidarsagen autotemcel) und zu Zolgensma® (Wirkstoff Onasemnogen Apeparvovec) treten mit Veröffentlichung auf der Website des G-BA in Kraft. Auf Grundlage der Bewertungsergebnisse vereinbaren anschließend der GKV-Spitzenverband und die pharmazeutischen Unternehmer die zukünftigen Erstattungsbeträge.



Weitere Informationen zum Stichwort [Nutzenbewertung von Arzneimitteln](#) finden Interessierte auf der Website des G-BA.

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.