

Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Tafamidis Meglumin

Vom 7. Juni 2012

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat in seiner Sitzung am 7. Juni 2012 beschlossen, die Richtlinie über die Versorgung von Arzneimitteln in der Vertragsärztlichen Versorgung (Arzneimittelrichtlinie) in der Fassung 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 [BAnz-Nr. 49a vom 31. März 2009], zuletzt geändert am T. Monat JJJJ [BAnz-Nr. XX (S. XX XXX)], wie folgt zu ändern:

- I. Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Wirkstoff Tafamidis Meglumin wie folgt ergänzt:**

Tafamidis Meglumin

Beschluss vom: 7. Juni 2012

In Kraft getreten am:

BAnz. [] Nr. [..] ; tt.mm.jjjj, S.[..]

Zugelassenes Anwendungsgebiet

Vyndaqel® ist indiziert zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu verzögern.

1. Ausmaß des Zusatznutzens des Arzneimittels

Tafamidis Meglumin ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/ 2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bestimmt gemäß 5. Kapitel § 12 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das Ausmaß des Zusatznutzens für die Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht. Diese Quantifizierung des Zusatznutzens erfolgt am Maßstab der im 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien.

Ausmaß des Zusatznutzens:

geringer Zusatznutzen

Studienergebnisse nach Endpunkten¹:

	Effektschätzer Tafamidis Meglumin vs. Placebo	Ergebnisse bzw. Ereignisanteil Tafamidis Meglumin vs. Placebo, absolute Risikoreduktion (ARR) ²	p-Wert
Mortalität			
	Keine Todesfälle in der Studie		n.B.
Morbidität			
Neuropathy Impairment Score of the Lower Limb (NIS-LL) Responder ³ , Intention to treat (ITT)	Relatives Risiko 1,54 ³	45,3 % vs. 29,5 %	0,068
NIS-LL Responder ³ (Transplantierte durch Imputation ersetzt)	Relatives Risiko 1,52 ³	54,7 % vs. 36,1 % ARR 18,6 %	0,0367 bzw. 0,041 ⁴
NIS-LL Responder (Mit Messungen zu Monat 18) ⁵	Relatives Risiko 1,57 ³	60,0 % vs. 38,1 %	0,040
Lebensqualität			
Differenz der Lebensqualitäts-Score Veränderung ⁶ (ITT)	Differenz der KQ Mittelwerte -5,2 [-11,8; 1,3]	KQ Mittelwert 2,0 vs. 7,2	0,116
Differenz der Lebensqualitäts-Score Veränderung ⁶ (Mit Messungen zu Monat 18) ⁵	Differenz der KQ Mittelwerte -8,8 [-17,4; -0,2]	KQ Mittelwert 0,1 vs. 8,9	0,045
Nebenwirkungen			
Unerwünschte Ereignisse (UE) ⁷	RR 0,95 [0,88; 1,04]	92,3 % vs. 96,8 %	>0,2
Schwerwiegende UE (SUE) ⁷	RR 1,16 [0,37; 3,62]	9,2 % vs. 7,9 %	>0,2

¹ Fx-005 Studie, Angaben aus EPAR bzw. Fachinformation Vindaqel®² Angabe nur bei signifikanten Unterschieden³ Response: Änderungen weniger als 2 Punkte des „Neuropathy Impairment Score of the Lower Limb“ (NIS-LL), Daten der Fx-005 Studie, s. EPAR⁴ Der p-Wert 0,041 beruht auf einer nachträglichen Analyse der EMA, s. EPAR⁵ Die Analyse beruht nur auf 70% der Patienten der ITT-Population⁶ Lebensqualität (Norfolk QOL-DN), kleinste Quadrate(KQ)-Mittelwerte. Höherer Wert entspricht schlechterer Lebensqualitätsbewertung, s. EPAR und Fachinformation⁷ Angaben für UE aus Dossier

2. Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Anzahl von Patienten mit Transthyretin-Amyloidose mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, abzüglich der Patienten nach Lebertransplantation:

40 bis 104¹

¹Daten aus dem Dossier des pharmazeutische Unternehmers sowie Daten nach § 130b in Verbindung mit § 217f SGB V

3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

4. Therapiekosten

Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1

Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen pro Patient pro Jahr	Behandlungsdauer je Behandlung (Tage)	Behandlungstage pro Patient pro Jahr
Tafamidis Meglumin	kontinuierlich, 1 x täglich	kontinuierlich	365	365

Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (mg)	Menge pro Packung (Kapseln)	Jahresdurchschnittsverbrauch (Kapseln)
Tafamidis Meglumin	20 mg	30	365

Kosten:

Kosten der Arzneimittel:

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis ¹)	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Tafamidis Meglumin (Vyndaqel [®])	18.734,78 €	16.294,55 € [2,05 € ¹ ; 2.438,18 € ²]

¹ Rabatt nach § 130 SGB V

² Rabatt nach § 130a SGB V

Stand Lauer-Taxe 15. April 2012

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: keine

Jahrestherapiekosten:

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten pro Patient
Tafamidis Meglumin	198.250,36 €

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung im Internet auf der Homepage des Gemeinsamen Bundesausschusses am 7. Juni 2012 in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf der Internetseite des Gemeinsamen Bundesausschusses unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 7. Juni 2012

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Hess