

# 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 - Cholsäure**

Vom 6. November 2014

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat in seiner Sitzung am 6. November 2014 beschlossen, die Richtlinie über die Verordnung von Arzneimitteln in der vertragsärztlichen Versorgung (Arzneimittel-Richtlinie) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), zuletzt geändert am 16. Oktober 2014 (BAnz AT 11.11.2014 B1), wie folgt zu ändern:

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

## **Cholsäure**

Beschluss vom: 6. November 2014

In Kraft getreten am: 6. November 2014

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

### **Zugelassenes Anwendungsgebiet:**

Cholsäure (Orphacol®) ist angezeigt zur Behandlung von angeborenen Störungen der primären Gallensäuresynthese aufgrund eines 3 $\beta$ -Hydroxy- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-Steroid-Oxidoreduktase-Mangels oder eines  $\Delta^4$ -3-Oxosteroid-5 $\beta$ -Reduktase-Mangels bei Säuglingen, Kindern und Jugendlichen im Alter von einem Monat bis 18 Jahren und bei Erwachsenen.

### **1. Ausmaß des Zusatznutzens des Arzneimittels**

Cholsäure 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 SGB V 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:**

Nicht quantifizierbar

#### **Ergebnisse zur Wirksamkeit nach Endpunkten:**

Es liegen keine verwertbaren Daten vor.

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

Zielpopulation: ca. 10 bis 25 Patienten

### **3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung**

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die Europäische Arzneimittelagentur (European Medicines Agency, EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Cholsäure (Orphacol®) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 30. Oktober 2014):

[http://www.ema.europa.eu/docs/de\\_DE/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/001250/WC500150993.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/001250/WC500150993.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Cholsäure darf nur durch in der Therapie von Patienten mit angeborenen Synthesestörungen der primären Gallensäuren erfahrene Fachärzte für Innere Medizin und Gastroenterologie bzw. Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Zusatz-Weiterbildung Kinder-Gastroenterologie erfolgen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Das bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Erkrankung und aus ethischen Gründen nicht möglich war vollständige Informationen zu diesem Arzneimittel zu erhalten. Die EMA wird jegliche neue Informationen, die verfügbar werden, jährlich bewerten und, falls erforderlich, wird die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels aktualisiert werden.

Zusätzliche Maßnahmen zur Risikominimierung im Europäischen Öffentlichen Beurteilungsbericht (EPAR) umfassen ein Schulungsprogramm für verschreibende Ärzte, um Schulungsmaterial über Diagnose und Behandlung bereitzustellen und über erwartete und potenzielle Risiken in Verbindung mit der Behandlung zu informieren.

Die Behandlung mit Cholsäure ist abzubrechen, wenn sich eine gestörte hepatozelluläre Funktion (ermittelt anhand der Prothrombinzeit) nicht innerhalb von drei Monaten nach Einleitung der Cholsäurebehandlung verbessert. Dabei sollte ein gleichzeitiges Absinken der Gesamtgallensäuren im Urin zu beobachten sein. Die Behandlung ist zu einem früheren Zeitpunkt abzubrechen, wenn eindeutige Hinweise auf eine schwere Leberinsuffizienz vorliegen.

#### 4. Therapiekosten

##### Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen pro Patient pro Jahr	Behandlungsdauer je Behandlung (Tage)	Behandlungstage pro Patient pro Jahr
Cholsäure	Kontinuierlich, 1 – 2 x täglich	Kontinuierlich	365	365

##### Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (mg)	Menge pro Packung <sup>1</sup> (Tabletten)	Jahresdurchschnittsverbrauch (Tabletten)
Cholsäure	50 mg	60	365
	250 mg	30	730

<sup>1</sup> Jeweils größte Packung.

Kosten:

**Kosten der Arzneimittel:**

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Cholsäure 50 mg	6 479,99 €	6 111,39 € [1,80 € <sup>2</sup> , 366,80 € <sup>3</sup> ]
Cholsäure 250 mg	16 113,99 €	15 195,19 € [1,80 € <sup>2</sup> , 917,00 € <sup>3</sup> ]

Stand Lauer-Steuer: 15. Oktober 2014

**Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen:**

entfällt

**Jahrestherapiekosten:**

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten pro Patient
Cholsäure	37 177,62 € bis 369 749,62 € <sup>4</sup>

**II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung im Internet auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses am 6. November 2014 in Kraft.**

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 6. November 2014

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Hecken

<sup>2</sup> Rabatt nach § 130 SGB V.

<sup>3</sup> Rabatt nach § 130a SGB V.

<sup>4</sup> Kosten von 50 mg täglich bis 500 mg täglich (jeweils geringste und maximale Dosis gemäß Fachinformation).