

# 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 – Simoctocog alfa**

Vom 7. Mai 2015

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 7. Mai 2015 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 TT. MM JJJJ (BAnz AT TT. MM JJJJ Bx), wie folgt zu ändern:

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

## **Simoctocog alfa**

Beschluss vom: 7. Mai 2015  
In Kraft getreten am: 7. Mai 2015  
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

### **Zugelassenes Anwendungsgebiet:**

Simoctocog alfa (Nuwiq<sup>®</sup>)<sup>1</sup> ist angezeigt zur Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor VIII-Mangel).

Nuwiq<sup>®</sup> kann bei allen Altersgruppen angewendet werden.

### **1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie**

#### **Zweckmäßige Vergleichstherapie:**

Es wird vorausgesetzt, dass es sich bei der Patientenpopulation in der vorliegenden Indikation um Faktor VIII substituionspflichtige Hämophiliepatienten handelt.

Die zweckmäßige Vergleichstherapie für die Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei der Hämophilie A sind rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor VIII-Präparate.

#### **Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens gegenüber einer Behandlung mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor VIII-Präparaten:**

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

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

Anzahl: ca. 3 190 - 3 585 Patienten

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

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Nuwiq<sup>®</sup> (Wirkstoff: Simoctocog alfa) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 7. April 2015):

[http://www.ema.europa.eu/docs/de\\_DE/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/002813/WC500179340.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/002813/WC500179340.pdf)

Die Sicherheit und Wirksamkeit bei zuvor unbehandelten Patienten ist nicht erwiesen, es liegen keine Daten vor.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Simoctocog alfa soll durch in der Behandlung der Hämophilie erfahrene Fachärzte erfolgen.

<sup>1</sup> Fachinformation Nuwiq<sup>®</sup> (Simoctocog alfa; Stand Juli 2014).

#### 4. Therapiekosten

##### Behandlungsdauer bei Patienten mit schwerer Hämophilie (Prophylaxe):<sup>2</sup>

Bezeichnung der Therapie	Patienten- gruppe	Behand- lungs- modus <sup>3</sup>	Anzahl Behand- lungen pro Patient pro Jahr	Behand- lungsdauer je Behand- lung (Tage)	Behand- lungstage pro Patient pro Jahr
<b>Zu bewertendes Arzneimittel</b>					
Simoctocog alfa (Nuwiq®)	Erwachsene 12 - < 18 Jahre 6 - < 12 Jahre < 6 Jahre	alle 2 - 3 Tage	kontinuierlich	1	122 - 183
<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie</b>					
<b>Rekombinanter Blutgerinnungsfaktor VIII</b>					
Turoctocog alfa (NovoEight®)	Erwachsene 12 - < 18 Jahre 6 - < 12 Jahre < 6 Jahre	alle 2 Tage bis 3 x wöchentlich	kontinuierlich	1	156 - 183
Octocog alfa (Advate)	Erwachsene 12 - < 18 Jahre 6 - < 12 Jahre	alle 2 bis 3 Tage	kontinuierlich	1	122 - 183
	< 6 Jahre	3 bis 4 x wöchentlich	kontinuierlich	1	156 - 208
Octocog alfa (Kogenate®; Helixate® NexGen, Re- combinat Antihämophilie Faktor)	Erwachsene 12 - < 18 Jahre 6 - < 12 Jahre < 6 Jahre	alle 2 bis 3 Tage	kontinuierlich	1	122 - 183
Moroctocog alfa (Refacto AF®)	Erwachsene 12 - < 18 Jahre 6 - < 12 Jahre < 6 Jahre	alle 2 bis 3 Tage	kontinuierlich	1	122 - 183

<sup>2</sup> Die Kosten der Bedarfsbehandlung für Hämophilie A Patienten mit leichtem bis mittelschwerem Schweregrad ist individuell verschieden und wird nicht dargestellt. Es wird der Verbrauch für eine Prophylaxe bei Vorliegen einer schweren Hämophilie A dargestellt und der Kostenberechnung zugrunde gelegt.

<sup>3</sup> Bei jüngeren Patienten können patientenindividuell kürzere Dosierungsintervalle oder höhere Dosen erforderlich sein.

Aus humanem Plasma gewonnener Blutgerinnungsfaktor VIII					
human-plasmatische Präparate <sup>4</sup>	Erwachsene 12 - < 18 Jahre 6 - < 12 Jahre < 6 Jahre	alle 2 bis 3 Tage	kontinuierlich	1	122 - 183

Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (I. E.)	Menge pro Packung (Durchstechflasche)	Dosierung pro Injektion <sup>5</sup> (I. E.)	Jahresdurchschnittsverbrauch <sup>6</sup> (Durchstechflasche)	
<b>Zu bewertendes Arzneimittel<sup>7</sup></b>					
Simoctocog alfa (Nuwiq <sup>®</sup> )	250	1	Erwachsene	366 - 549	
	500		1 686 - 3 372		
	1 000		12 - < 18 Jahre 1 234 - 2 468		244 - 366
	2 000		6 - < 12 Jahre 648 - 1 296		244 - 366
			< 6 Jahre 300 - 600	122 - 366	
<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie<sup>7</sup></b>					
<b>Rekombinanter Blutgerinnungsfaktor VIII</b>					
Turoctocog alfa <sup>8</sup> (NovoEight <sup>®</sup> )	250	1	Erwachsene <sup>9</sup>	312 - 468	
	500		1 686 - 4 215		
	1 000		12 - < 18 Jahre <sup>9</sup> 1 234 - 3 085		312
	1 500		6 - < 12 Jahre <sup>10</sup> 810 - 1 944		156
	2 000		< 6 Jahre <sup>10</sup> 375 - 900		156
3 000					
Octocog alfa (Advate)	250	1	Erwachsene	244 - 366	
	500		1 686 - 3 372		
	1 000		12 - < 18 Jahre 1 234 - 2 468		244 - 366
	1 500		6 - < 12 Jahre		183 - 244

<sup>4</sup> Es sind 10 Faktor VIII-Präparate aus humanem Plasma verfügbar: Octanate, Beriate<sup>®</sup>, Faktor VIII SDH Intersero; Haemoctin<sup>®</sup>, Optivate<sup>®</sup>, Voncento, Wilate, Immunate Stim plus, Fanhd<sup>®</sup> und Haemate<sup>®</sup>.

<sup>5</sup> Mittleres Körpergewicht (männlich): Mikrozensus 2013: Erwachsene: 84,3 kg; 12 bis unter 18 Jahre: 61,7 kg; 6 bis unter 12 Jahre: 32,4 kg; unter 6 Jahre: 15 kg.

<sup>6</sup> Der Jahresdurchschnittsverbrauch an Durchstechflaschen wurde auf die wirtschaftlichste Stückelung der benötigten I. E. pro Injektion bezogen.

<sup>7</sup> In der Regel ist die Dosierung für alle Faktor VIII Präparate altersübergreifend gemäß Fachinformation 20 - 40 I. E. pro kg Körpergewicht alle 2 - 3 Tage. Abweichungen werden separat vermerkt.

<sup>8</sup> Verbrauchsspanne gemäß Fachinformation: 20 - 40 I. E. Faktor VIII pro kg Körpergewicht alle zwei Tage oder 20 - 50 I. E. pro kg Körpergewicht 3-mal pro Woche. Zur Darstellung des Verbrauchs: Dosierungsschema mit der größeren Verbrauchsspanne (beinhaltet die Verbrauchsspanne des alternativen Dosierungsschemas).

<sup>9</sup> 20 - 50 I. E. pro kg Körpergewicht 3-mal pro Woche.

<sup>10</sup> 25 - 60 I. E. pro kg Körpergewicht 3-mal pro Woche.

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (I. E.)	Menge pro Packung (Durchstechflasche)	Dosierung pro Injektion <sup>5</sup> (I. E.)	Jahresdurchschnittsverbrauch <sup>6</sup> (Durchstechflasche)
	2 000 3 000		648 - 1 296 < 6 Jahre <sup>11</sup> 300 - 750	156 - 416
Octocog alfa (Kogenate <sup>®</sup> ; Helixate <sup>®</sup> NexGen)	250 500 1 000 2 000 3 000	1	Erwachsene 1 686 - 3 372 12 - < 18 Jahre 1 234 - 2 468 6 - < 12 Jahre 648 - 1 296 < 6 Jahre 300 - 600	366 244 - 366 244 - 366 122 - 366
Octocog alfa (Recombinate Antihämophilie Faktor)	500 1 000	1	Erwachsene 1 686 - 3 372 12 - < 18 Jahre 1 234 - 2 468 6 - < 12 Jahre 648 - 1 296 < 6 Jahre <sup>12</sup> 300 - 600	244 - 732 244 - 549 122 - 366 122 - 183
Moroctocog alfa (Refacto AF <sup>®</sup> )	250 500 1 000 2 000 3 000	1	Erwachsene 1 686 - 3 372 12 - < 18 Jahre 1 234 - 2 468 6 - < 12 Jahre 648 - 1 296 < 6 Jahre <sup>12</sup> 300 - 600	366 244 - 366 244 - 366 122 - 366
Aus humanem Plasma gewonnener Blutgerinnungsfaktor VIII				
human-plasmatische Präparate <sup>4</sup>	250 <sup>13</sup> 450 <sup>14</sup> 500 900 <sup>14</sup> 1 000	1	Erwachsene 1 686 - 3 372 12 - < 18 Jahre 1 234 - 2 468 6 - < 12 Jahre 648 - 1 296 < 6 Jahre <sup>12</sup> 300 - 600	244 - 732 244 - 549 122 - 366 122 - 366

<sup>11</sup> 20 - 50 I. E. pro kg 3 – 4-mal pro Woche.

<sup>12</sup> Dosierung 20 - 40 I. E. pro kg Körpergewicht alle 2 - 3 Tage. Ausnahme: Optivate<sup>®</sup> für Kinder unter 6: 17 - 30 I. E. bis 3-mal pro Woche.

<sup>13</sup> Voncento: kein Präparat mit Wirkstärke 250 I. E. verfügbar.

<sup>14</sup> Wirkstärke nur für Wilate verfügbar.

Kosten:**Kosten der Arzneimittel:**

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis) <sup>15</sup>	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
<b>Zu bewertendes Arzneimittel</b>		
Simoctocog alfa (Nuwiq®)	383,95 € (250 I. E.)	361,53 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 20,65 € <sup>17</sup> ]
	756,93 € (500 I. E.)	713,86 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 41,30 € <sup>17</sup> ]
	1 502,78 € (1 000 I. E.)	1 418,41 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 82,60 € <sup>17</sup> ]
	2 949,11 € (2 000 I. E.)	2 782,14 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 165,20 € <sup>17</sup> ]
<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie</b>		
<b>Rekombinanter Blutgerinnungsfaktor VIII</b>		
Turoctocog alfa (NovoEight®)	264,46 € <sup>18</sup> (250 I. E.)	248,17 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 14,53 € <sup>17</sup> ]
	518,79 € <sup>18</sup> (500 I. E.)	487,97 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 29,05 € <sup>17</sup> ]
	1 027,46 € <sup>18</sup> (1 000 I. E.)	967,59 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 58,10 € <sup>17</sup> ]
	1 536,12 € <sup>18</sup> (1 500 I. E.)	1 447,20 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 87,15 € <sup>17</sup> ]
	2 044,79 € <sup>18</sup> (2 000 I. E.)	1 926,82 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 116,20 € <sup>17</sup> ]
	3 062,12 € <sup>18</sup> (3 000) I. E.)	2 886,05 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 174,30 € <sup>17</sup> ]
Octocog alfa (Advate, Kogenate®, Helixate®NexGen, Recombinante Antihämophilie Faktor)	346,03 - 360,92 € (250 I. E.)	325,71 - 340,25 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 18,55 € <sup>17</sup> ; 18,90 € <sup>17</sup> ]
	666,24 - 711,72 € (500 I. E.)	629,12 - 672,15 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 35,35 € <sup>17</sup> ; 37,80 € <sup>17</sup> ]
	1 322,36 - 1 413,31 € (1 000 I. E.)	1 249,89 € - 1 335,94 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 70,70 € <sup>17</sup> ; 75,60 € <sup>17</sup> ]
	2 084,01 € (1 500 I. E.)	1968,84 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 113,40 € <sup>17</sup> ]

<sup>15</sup> Faktor VIII-Präparate können von den Preisspannen und Preisen der Apotheken gemäß § 1 Absatz 3 Nr. 3 und 6 Arzneimittelpreisverordnung (AMPreisV) ausgenommen werden. Die gelisteten Apothekenabgabepreise wurden gemäß §§ 2 und 3 AMPreisV in Verbindung mit § 78 Absatz 3 Satz 1 AMG gebildet. Sofern laut Lauer – Taxe kein Apothekeneinkaufspreis ausgewiesen war, wurde dieser auf Basis der Herstellerabgabepreise zuzüglich der Großhandelsaufschläge ermittelt. Sofern die Präparate laut Lauer – Taxe nicht über den Großhandel beziehbar waren, wurden keine Großhandelsaufschläge ermittelt.

<sup>16</sup> Rabatt nach § 130 SGB V.

<sup>17</sup> Rabatt nach § 130a SGB V.

<sup>18</sup> Taxe-Verkaufspreis für Turoctocog alfa setzt sich aus dem Erstattungsbetrag zuzüglich der Apothekenzuschläge und der Mehrwertsteuer zusammen.

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis) <sup>15</sup>	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
	2 655,80 - 2 745,89 € (2 000 I. E.)	2 505,63 € - 2 592,92 € [1,77 € <sup>16</sup> , 148,40 € <sup>17</sup> , 151,20 € <sup>17</sup> ]
	3955,04 - 4 069,65 € (3 000) I. E.)	3 730,67 - 3 841,08 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 222,60 € <sup>17</sup> , 226,80 € <sup>17</sup> ]
Moroctocog (Refacto AF <sup>®</sup> )	307,36 € (250 I. E.)	288,62 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 16,98 € <sup>17</sup> ]
	604,59 € (500 I. E.)	568,87 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 33,95 € <sup>17</sup> ]
	1 199,06 € (1 000 I. E.)	1 129,39 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 67,90 € <sup>17</sup> ]
	2 387,98 € (2 000 I. E.)	2 250,41 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 135,80 € <sup>17</sup> ]
	3 576,91 € (3 000 I. E.)	3 371,44 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 203,70 € <sup>17</sup> ]
<b>Aus humanem Plasma gewonnener Blutgerinnungsfaktor VIII</b>		
human-plasmatische Präparate <sup>19</sup>	248,04 - 311,26 € (250 I. E.)	233,15 - 292,87 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 13,13 € <sup>17</sup> ; 16,63 € <sup>17</sup> ]
	485,10 - 611,53 € (500 I. E.)	457,08 - 576,51 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 26,25 € <sup>17</sup> ; 33,25 € <sup>17</sup> ]
	959,22 - 1 212,08 € (1 000 I. E.)	905,95 - 1 143,81 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 52,50 € <sup>17</sup> ; 66,50 € <sup>17</sup> ]
	2 263,58 € (2 000 I.E.)	2 135,81 € [1,77 € <sup>16</sup> ; 126,00 € <sup>17</sup> ]

Stand Lauer-Taxe: 1. April 2015

<sup>19</sup> Die Preisspannen ergeben sich aus den Preisen der Präparate: Beriate<sup>®</sup>, Haemate<sup>®</sup>, Optivate<sup>®</sup>, Voncento, Octanate, Faktor VIII SDH Intersero; Haemoctin<sup>®</sup>, Wilate und Immunate Stim plus. Für das Präparat Fanhdi<sup>®</sup> gibt es keine Preisangaben in der Lauer-Taxe.

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

keine

**Jahrestherapiekosten:**

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten pro Patient
<b>Zu bewertendes Arzneimittel:</b>	
Simoctocog alfa	
Erwachsene	304 243,60 - 899 337,03 €
12 bis unter 18 Jahre	217 152,68 - 639 768,00 €
6 bis unter 12 Jahre	131 197,58 - 390 205,41 €
unter 6 Jahre	87 090,92 - 196 796,37 €
<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie</b>	
Rekombinanter Blutgerinnungsfaktor VIII	
Turoctocog alfa	
Erwachsene	264 477,72 - 639 882,36 €
12 bis unter 18 Jahre	189 658,56 - 488 938,32 €
6 bis unter 12 Jahre	150 944,04 - 300 583,92 €
unter 6 Jahre	76 123,32 - 150 944,04 €
Octocog alfa	
Erwachsene	273 656,98 - 825 921,09 €
12 bis unter 18 Jahre	195 308,58 - 597 507,81 €
6 bis unter 12 Jahre	118 085,02 - 360 297,72 €
unter 6 Jahre	76 752,64 - 228 729,87 €
Moroctocog alfa	
Erwachsene	242 399,36 - 721 076,73 €
12 bis unter 18 Jahre	172 997,22 - 515 928,24 €
6 bis unter 12 Jahre	104 613,78 - 310 781,58 €
unter 6 Jahre	69 402,14 - 156 920,67 €
Aus humanem Plasma gewonnener Blutgerinnungsfaktor VIII	
Erwachsene	194 611,96 - 733 453,02 €
12 bis unter 18 Jahre	138 848,20 - 524 135,79 €
6 bis unter 12 Jahre	84 208,06 - 314 818,56 €
unter 6 Jahre	59 479,88 - 209 317,23 €



**II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung im Internet auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses am 7. Mai 2015 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 7. Mai 2015

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken