

# Beschluss



Gemeinsamer  
Bundesausschuss

## **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 – Burosumab**

Vom 4. Oktober 2018

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 4. Oktober 2018 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. August 2018 (BAnz AT 12.10.2018 B2), wie folgt zu ändern:

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

Beschluss wurde aufgehoben

## Burosumab

Beschluss vom: 4. Oktober 2018  
In Kraft getreten am: 4. Oktober 2018  
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

### Zugelassenes Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 19.02.2018):

CRYSVITA wird angewendet zur Behandlung von Kindern ab 1 Jahr und Jugendlichen in der Skelettwachstumsphase mit X-chromosomaler Hypophosphatämie (XLH) und röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung.

### 1. Ausmaß des Zusatznutzens des Arzneimittels

Burosumab 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 11 1. Halbs. 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.

Kinder ab 1 Jahr und Jugendliche in der Skelettwachstumsphase mit XLH und röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung

#### **Ausmaß des Zusatznutzens:**

nicht quantifizierbar

**Studienergebnisse nach Endpunkten:**

Kinder ab 1 Jahr und Jugendliche in der Skelettwachstumsphase mit XLH und röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung

Ergebnisse der Studien UX023-CL201 (Woche 64)/ UX023-CL205 (Woche 40): Burosumab

Endpunktkategorie Endpunkt Studien UX023-CL201/ UX023-CL205		Burosumab					
		N		n (%)			
<b>Mortalität</b>							
Es traten keine Todesfälle auf.							
Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie	Burosumab						
	RSS-Gesamtwert zu Baseline			RSS-Gesamtwert zu Woche 64/ Woche 40			Veränderung Woche 64/ Woche 40 zu Baseline
	N	MW (SD)	Median (min; max)	N	MW (SD)	Median (min; max)	LS Mean (SE) [95%-KI]; p-Wert
<b>Morbidität</b>							
Rachitissymptomatik mittels Rickets Severity Scale (RSS)							
<b>Studie UX023- CL201</b> RSS zu Woche 64 <sup>a),b)</sup>	26	1,92 (1,17)	2,0 (0,0; 4,5)	26	0,81 (0,60)	1,0 (0,0; 2,0)	-1,0 (0,11) [-1,22; -0,79]; <0,0001
<b>Studie UX023- CL205</b> RSS zu Woche 40 <sup>c)</sup>	13	2,92 (1,37)	-	13	1,19 (0,52)	-	-1,73 (0,13) [-2,03; -1,44]; <0,0001
Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie UX023- CL205	Burosumab						
	Serumphosphat zu Baseline (mg/dl)			Serumphosphat zu Woche 40 (mg/dl)			Veränderung Woche 40 zu Baseline <sup>a)</sup>
	N	MW (SD)	Median (min; max)	N	MW (SD)	Median (min; max)	LS Mean (SE) [95%-KI]; p-Wert
<b>Morbidität</b>							
Serum- phosphat <sup>d)</sup>	13	2,51 (0,28)	2,50 (2,0; 2,9)	13	3,47 (0,49)	3,30 (3,0; 4,6)	0,96 (0,12) [0,73; 1,20]; <0,0001

Endpunkt-kategorie Endpunkt Studie UX023- CL201	Burosumab						
	Serumphosphat zu Baseline (mmol/L)		Serumphosphat zu Woche 64 (mmol/L)		Veränderung Woche 64 zu Baseline		
	N	MW (SD)	N	MW (SD)	MWD (SE) [95%-KI]; p-Wert		
<b>Morbidität</b>							
Serum-phosphat <sup>c)</sup>	26	0,77 (0,13)	24	1,08 (0,14)	0,32 (0,03) [0,26; 0,38]; <0,0001		
Endpunkt-kategorie Endpunkt Studie	Burosumab						
	Baseline			Woche 64/ Woche 40			Veränderung zu Baseline <sup>a)</sup>
	N	MW (SD)	Median (min; max)	N	MW (SD)	Median (min; max)	LS Mean (SE) [95%-KI]; p-Wert
<b>Morbidität</b>							
Anthropometrische Parameter- Körpergröße: Stehhöhe/ Liegelänge (z-Score)							
<b>Studie UX023- CL201</b> Stehhöhe (z-Score zu Woche 64)	26	-1,72 (1,03)	-1,72 (-4,0; - 0,1)	26	-1,54 (1,13)	-1,48 (-4,5; 0,1)	0,19 (0,05) [0,09; 0,29]; 0,0002
<b>Studie UX023- CL205</b> Liegelänge/ Stehhöhe (z-Score zu Woche 40)	13	-1,38 (1,2)	-1,37 (-3,66; 0,97)	13	-1,65 (1,12)	-1,61 (-4,03; 0,31)	-0,20 (0,13) [-0,46; 0,06]; 0,1396
Endpunkt-kategorie Endpunkt Studie	Burosumab						
	Baseline			Woche 64/ Woche 40			Veränderung zu Baseline
	N	MW (SD)	Median (min; max)	N	MW (SD)	Median (min; max)	MW (SD) Median (min; max)
<b>Morbidität</b>							
Anthropometrische Parameter- Körpergröße: Stehhöhe/ Liegelänge (Perzentile für Alter und Geschlecht)							
<b>Studie UX023- CL201</b> Stehhöhe (Perzentile zu Woche 64)	26	11,13 (13,8)	4,28 (0,0; 47,7)	26	15,04 (17,44)	7,23 (0,0; 54,6)	3,91 (4,89) 2,38 (-2,4; 15,0)
<b>Studie UX023- CL205</b> Liegelänge/ Stehhöhe (Perzentile zu Woche 40)	13	18,04 (25,26)	8,52 (0,01; 83,29)	13	12,76 (18,94)	5,36 (0,0; 62,07)	-5,28 (20,17) -0,28 (-70,42; 9,82)

Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie	Burosumab						
	Baseline			Woche 64/ Woche 40			Veränderung zu Baseline <sup>a)</sup>
	N	MW (SD)	Median (min; max)	N	MW (SD)	Median (min; max)	LS Mean (SE) [95%-KI]; p-Wert
<b>Morbidität</b>							
Körperliche Belastbarkeit mittels 6MWT							
<b>Studie UX023- CL201</b> 6MWT Distanz zu Woche 64 (Meter)	26	479,92 (84,80)	478,0 (280,0; 630,0)	26	533,85 (58,7)	523,50 (381,0; 643,0)	52,67 (8,82) [35,39; 69,95]; <0,0001
Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie UX023- CL201	Burosumab						
	Baseline			Woche 64			Veränderung zu Baseline
	N	MW (SD)		N	MW (SD)		MWD [95%-KI]; p-Wert <sup>e)</sup>
<b>Morbidität</b>							
Motorische Funktion mittels BOT-2-Skala „Kraft und Gewandtheit“ <sup>f)</sup> (Perzentile)							
Skala „Kraft und Gewandtheit“	25	33,4 (25,98)		25	47,6 (27,72)		14,2 [9,25; 19,15]; <0,0001
Motorische Funktion mittels BOT-2-Skala „Kraft und Gewandtheit“ <sup>f)</sup> (Normierter Score) <sup>g)</sup>							
Skala „Kraft und Gewandtheit“	25	43,9 (9,39)		25	48,3 (10,95)		4,4 [1,99; 6,81]; 0,001
Untertest „Schnelligkeit und Geschicklichkeit“	25	11,1 (4,85)		25	14,2 (4,09)		3,0 [1,49; 4,51]; 0,0004
Untertest „Kraft“	25	14,2 (5,00)		25	15,1 (5,26)		0,9 [0,10; 1,70]; 0,03

Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie UX023- CL201	Burosumab						
	Baseline		Woche 64		Veränderung zu Baseline		
	N	MW (SD)	N	MW (SD)	LS Mean [95%-KI]; p-Wert		
<b>Morbidität</b>							
Funktion und Schmerzen mittels POSNA-PODCI <sup>f)</sup>							
Globale Funktionsskala <sup>h)</sup>	26	37,5 (13,96)	26	43,1 (16,14)	6,02 [0,72; 11,33]; 0,026		
Funktion der oberen Extremitäten	26	52,1 (6,77)	26	53,3 (5,10)	1,9 [0,10; 3,68]; 0,038		
Sport/körperliche Funktion	26	34,6 (15,7)	26	41,7 (15,7)	7,7 [2,58; 12,91]; 0,003		
Transfer und Mobilität	26	45,7 (10,88)	26	45,6 (18,38)	-0,34 [-6,47; 5,78]; 0,91		
Schmerz/Wohlbe- finden	26	35,2 (15,26)	26	41,0 (17,04)	5,60 [-0,09; 11,30]; 0,054		
Glück und Zufriedenheit	26	43,6 (13,75)	26	45,8 (11,89)	2,18 [-1,58; 5,93]; 0,26		
Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie	Burosumab						
	Baseline			Woche 64/ Woche 40			Veränderung zu Baseline
	N	MW (SD)	Median (min; max)	N	MW (SD)	Median (min; max)	LS Mean (SE) [95%-KI]; p-Wert
<b>Lebensqualität</b>							
Studie UX023- CL201	keine verwertbaren Daten						
Studie UX023- CL205	nicht erhoben						

Endpunktkategorie Endpunkt	Burosumab Studie UX023-CL201		Burosumab Studie UX023-CL205	
	N	n (%)	N	n (%)
<b>Nebenwirkungen</b>				
UE	26	26 (100)	13	13 (100)
UE CTCAE-Grad ≥ 3	26	1 (3,8)	13	1 (7,7)
SUE	26	0	13	1 (7,7)
UE, das zum Abbruch der Studienmedikation führte	26	0	13	0
UE, das zum Tod führte	26	0	13	0

Ergebnisse der Studie UX023-CL301 (Woche 40): Burosumab vs. konventionelle Therapie<sup>l)</sup>

Endpunktkategorie Endpunkt Studie UX023-CL301		Burosumab			konventionelle Therapie				
		N	n (%)		N	n (%)			
<b>Mortalität</b>									
Es traten keine Todesfälle auf.									
Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie UX023- CL301	Burosumab			konventionelle Therapie			Burosumab vs. konventionelle Therapie		
	N	LS Mean (SE)		N	LS Mean (SE)		LS Mean Differenz [95%-KI]; p-Wert		
<b>Morbidity</b>									
Rachitissymptomatik mittels Radiographic Global Impression of Change (RGI-C) <sup>j)</sup>									
RGI-C <sup>j)</sup> Veränderung zu Woche 40	29	1,9 (0,1)		32	0,8 (0,1)		1,1 [0,8; 1,2]; <0,001		
Endpunkt- kategorie Endpunkt Studie UX023- CL301	Burosumab			konventionelle Therapie			Burosumab vs. konventionelle Therapie		
	N	Base- line MD (SD)	Woche 40 MD (SD)	LS Mean (SE)	N	Base- line MD (SD)	Woche 40 MD (SD)	LS Mean (SE)	LS Mean [95%-KI]; p-Wert (Hedges`g [95%-KI])
<b>Morbidity</b>									
Rachitissymptomatik mittels Rickets Severity Scale (RSS) <sup>k)</sup>									
RSS	28	3,16 (0,991)	1,13 (0,715)	-2,04 (0,145)	32	3,19 (1,141)	2,47 (1,092)	-0,71 (0,138)	-1,34 [-1,74; -0,94] <0,0001 (-1,69 [-2,29; -1,10])
Serumphosphat <sup>k)</sup>									
Serumphos- phat (mg/dl)	29	2,42 (0,244)	3,30 (0,426)	0,92 (0,080)	32	2,30 (0,257)	2,53 (0,339)	0,20 (0,061)	0,71 [0,52; 0,91]; <0,0001 (1,83 [1,23; 2,44])

Endpunkt-kategorie Endpunkt Studie UX023- CL301	Burosumab			konventionelle Therapie			Burosumab vs. konventionelle Therapie
	N	Baseline	Veränderung zu Woche 40	N	Baseline	Veränderung zu Woche 40	LS Mean Differenz [95%-KI]; p-Wert  (Hedges g [95% KI] p-Wert)
		MW (SD)	LS Mean (SE)		MW (SD)	LS Mean (SE)	
<b>Morbidität</b>							
Anthropometrische Parameter- Körpergröße: Stehhöhe/ Liegelänge (z-Score) <sup>i)</sup>							
Stehhöhe/ Liegelänge (z-Score)	28	-2,3 (1,8)	0,2 (0,1)	32	-2,1 (0,9)	0,1 (0,1)	0,1 [-0,1; 0,2]; 0,3507
Körperliche Belastbarkeit mittels 6MWT <sup>ii)</sup>							
6MWT Distanz (Meter)	15	365,9 (118,1)	52,1 (16,2)	20	450,5 (106,4)	10,6 (14,1)	41,5 [-0,6; 83,6]; 0,0534 <sup>m)</sup>
Prozentualer Anteil der erwarteten 6MWT-Distanz	15	62,1 (18,6)	6,2 (2,7)	20	76,2 (14,8)	0,5 (2,4)	5,6 [-1,2; 12,4]; 0,1058 <sup>m)</sup>
Schmerzen, körperliche Funktion und Fatigue mittels Patient-Reported Outcomes Measurement Information System (PROMIS) <sup>ij)</sup> n)							
<b>Peadiatric Pain Interference Score</b> T-Score	15	53,1 (11,0)	-5,3 (1,7)	20	49,9 (12,1)	-0,3 (1,5)	-5,0 [-9,3; -0,8]; 0,0212 (-0,7 [-1,4; 0,0]; 0,0404)
<b>Physical Function Mobility Score</b> T-Score	15	45,2 (9,1)	2,8 (1,3)	20	45,5 (9,9)	0,1 (1,0)	2,7 [-0,5; 5,9]; 0,1009
<b>Fatigue Domain Score</b> T-Score	15	48,8 (9,6)	-4,3 (1,7)	20	47,0 (13,7)	-1,05 (1,8)	-3,3 [-7,9; 1,4]; 0,1676
Schmerzintensität mittels Faces Pain Scale-Revised (FPS-R) <sup>ij)</sup>							
FPS-R Wert	15	0,4 (1,1)	0,0 (0,3)	20	0,7 (1,2)	0,0 (0,3)	0,0 [-0,8; 0,8]; 0,9862
<b>Lebensqualität</b>							
keine verwertbaren Daten							

Endpunktkategorie Endpunkt Studie UX023-CL301 <sup>i)</sup>	Burosumab		konventionelle Therapie <sup>o)</sup>		Relatives Risiko [95%-KI]
	N	n (%)	N	n (%)	
UE	29	28 (96,6)	32	26 (81,3)	-
UE CTCAE-Grad ≥ 3	29	4 (13,8)	32	2 (6,3)	2,2 [0,4; 11,2]
SUE	29	3 (10,3)	32	1 (3,1)	3,3 [0,4; 30,1]
UE, das zum Abbruch der Studienmedikation führte	29	0	32	0	-
UE, das zum Tod führte	29	0	32	0	-

Studie UX023-CL301	Burosumab		konventionelle Therapie <sup>o)</sup>	
MedDRA-Systemorganklasse <sup>i)</sup> Preferred Term mit einer Inzidenz ≥ 10% in einem der Studienarme sowie einer Differenz von ≥ 10% zwischen den Behandlungsgruppen	N	n (%)	N	n (%)
<b>Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verbreichungsort</b>	<b>29</b>	<b>22 (75,9)</b>	<b>32</b>	<b>8 (25,0)</b>
Pyrexie	29	15 (51,7)	32	6 (18,8)
Reaktion an der Injektionsstelle	29	7 (24,1)	32	0
Erythem der Injektionsstelle	29	6 (20,7)	32	0
Pruritus an der Injektionsstelle	29	3 (10,3)	32	0
Ausschlag an der Injektionsstelle	29	3 (10,3)	32	0
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen</b>				
Zahnabszess <sup>p)</sup>	29	7 (24,1)	32	3 (9,4)
<b>Gastrointestinale Störungen</b>	<b>29</b>	<b>20 (69,0)</b>	<b>32</b>	<b>15 (46,9)</b>
Übelkeit	29	11 (37,9)	32	8 (25,0)
Diarrhö	29	7 (24,1)	32	2 (6,3)
Zahnkaries <sup>p)</sup>	29	5 (17,2)	32	2 (6,3)
Zahnschmerzen <sup>p)</sup>	29	4 (13,8)	32	1 (3,1)
Zahnen	29	3 (10,3)	32	0
<b>Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums</b>	<b>29</b>	<b>19 (65,5)</b>	<b>32</b>	<b>9 (28,1)</b>
Husten	29	12 (41,4)	32	6 (18,8)

Studie UX023-CL301	Burosumab		konventionelle Therapie <sup>o)</sup>	
	N	n (%)	N	n (%)
<b>MedDRA-Systemorganklasse<sup>i)</sup></b> Preferred Term mit einer Inzidenz $\geq 10\%$ in einem der Studienarme sowie einer Differenz von $\geq 10\%$ zwischen den Behandlungsgruppen				
Rhinorrhö	29	5 (17,2)	32	2 (6,3)
Asthma	29	4 (13,8)	32	1 (3,1)
Oropharyngeale Schmerzen	29	4 (13,8)	32	1 (3,1)
<b>Erkrankungen der Muskel, des Skeletts und des Bindegewebes<sup>p)</sup></b>	<b>29</b>	<b>15 (51,7)</b>	<b>32</b>	<b>13 (40,6)</b>
Arthralgie	29	11 (37,9)	32	7 (21,9)
Schmerzen in den Extremitäten	29	10 (34,5)	32	9 (28,1)
<b>Erkrankungen des Nervensystems</b>				
Kopfschmerzen	29	8 (27,6)	32	5 (15,6)
<b>Erkrankungen der Haut und des Unterhautzellgewebes</b>	<b>29</b>	<b>10 (34,5)</b>	<b>32</b>	<b>2 (6,3)</b>
<b>Verletzungen, Vergiftungen und prozedurale Komplikationen</b>	<b>29</b>	<b>8 (27,6)</b>	<b>32</b>	<b>2 (6,3)</b>
Kontusion	29	4 (13,8)	32	0
<b>Untersuchungen</b>	<b>29</b>	<b>8 (27,6)</b>	<b>32</b>	<b>4 (12,5)</b>
Vitamin D vermindert	29	6 (20,7)	32	1 (3,1)
<b>Ohren- und Labyrinthstörungen</b>	<b>29</b>	<b>5 (17,2)</b>	<b>32</b>	<b>2 (6,3)</b>
<b>Stoffwechsel- und Ernährungsstörungen</b>				
Vitamin-D-Mangel	29	4 (13,8)	32	1 (3,1)
<p>a) Berechnung nach GEE-Model, siehe Nutzenbewertung  b) Primärer Endpunkt der Studie UX023-CL201  c) Daten aus dem Dossier entnommen  d) Primärer Endpunkt der Studie UX023-CL205  e) Berechnung erfolgte mittels Einstichproben-t-Test (one-sample t-test)  f) Daten aus dem Amendment 1  g) Der normierte Score bezieht sich auf eine US-amerikanische Referenzpopulation. Ein Wert von 50 auf der Skala „Kraft und Gewandtheit“ entspricht dem Durchschnittswert der Referenzpopulation. Ein Wert von 15 in den Untertests „Schnelligkeit und Geschicklichkeit“ und „Kraft“ entsprechen dem Durchschnittswert der Referenzpopulation.  h) Diese Skala setzt sich aus dem Durchschnitt der Itemwerte der vier Funktionsskalen (Funktion der oberen Extremitäten, Sport/körperliche Funktion, Transfer und Mobilität, Schmerz/Wohlbefinden) zusammen.  i) Daten aus dem Amendment 2  j) Primärer Endpunkt der Studie UX023-CL301  k) Daten aus der Stellungnahme des pharmazeutischen Unternehmers  l) Wurde ausschließlich für Patienten durchgeführt/ erhoben, die zum Zeitpunkt der Screening-Visite <math>\geq 5</math> Jahre waren  m) Laut Studienbericht fehlten für zwei Patienten des Burosumab-Studienarms Daten: Ein Patient absolvierte den 6MWT nicht zu Baseline, ein Patient nicht zu Woche 40. Laut SAP wurden fehlende Werte als solche behandelt.  n) T-Score= standardisierter Score mit Mittelwert von 50 und Standardabweichung von 10</p>				

Studie UX023-CL301	Burosumab		konventionelle Therapie <sup>o)</sup>	
	N	n (%)	N	n (%)
<b>MedDRA-Systemorganklasse<sup>i)</sup></b> Preferred Term mit einer Inzidenz $\geq 10\%$ in einem der Studienarme sowie einer Differenz von $\geq 10\%$ zwischen den Behandlungsgruppen				
o) Keine Angaben zur Auswertung des geplanten Cross-Over vom Kontroll- in den Burosumab-Arm nach Woche 64 verfügbar. Laut Studienbericht befand sich ein Patient der Kontrollgruppe zum Zeitpunkt des Datenschnitts in Studienwoche 66 und hatte in den Burosumab-Arm gewechselt. p) Enthält möglicherweise Ereignisse aus der Endpunktkategorie Morbidität Abkürzungen: BOT-2: Bruininks-Oseretsky Test of Motor Proficiency – 2 <sup>nd</sup> Edition; CTCAE: Common Terminology Criteria for Adverse Events; GEE: Generalized Estimating Equation; FPS-R: Faces Pain Scale-Revised; KI: Konfidenzintervall; LS: Least Squares; MedDRA: Medical Dictionary for Regulatory Activities; MW: Mittelwert; MWD: Mittelwertsdifferenz; RGI-C: Radiographic Global Impression of Change; RSS: Rickets Severity Scale; SD: Standardabweichung; SE: Standardfehler; (S)UE: (schwerwiegende/s) unerwünschte/s Ereignis/se; 6MWT: 6-Minuten-Gehtest.				

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

Kinder ab 1 Jahr und Jugendliche in der Skelettwachstumsphase mit XLH und röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung

ca. 200-500 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 Crysvida<sup>®</sup> (Wirkstoff: Burosumab) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 20. August 2018):

[http://www.ema.europa.eu/docs/de\\_DE/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/004275/WC500245537.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/004275/WC500245537.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Burosumab soll nur durch in der Therapie von Patienten mit Knochenstoffwechselerkrankungen erfahrene Ärzte erfolgen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die EMA wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

## 4. Therapiekosten

### Jahrestherapiekosten:

Kinder ab 1 Jahr und Jugendliche in der Skelettwachstumsphase mit XLH und röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten pro Patient
Burosumab	102.010,48 - 611.194,48 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15.09.2018)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

## II. Inkrafttreten

- 1. Der Beschluss tritt vom Tag seiner Veröffentlichung im Internet auf den Internetseiten des G-BA am 4. Oktober 2018 in Kraft.**
- 2. Die Geltungsdauer des Beschlusses ist bis zum 1. Oktober 2019 befristet.**

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

Berlin, den 4. Oktober 2018

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken