

Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung
der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a SGB V

Onasemnogen-Abeparvovec (Überschreitung 50 Mio. €
Grenze: Spinale Muskelatrophie)

Vom 4. November 2021

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 4. November 2021 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 21. Oktober 2021 (BAnz AT 12.11.2021 B4) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

- I. **Die Anlage XII wird wie folgt geändert:**
 1. **Die Angaben zu Onasemnogen-Abeparvovec in der Fassung des Beschlusses vom 3. Dezember 2020 (BAnz AT 02.02.2021 B2) werden aufgehoben.**
 2. **Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Wirkstoff Onasemnogen-Abeparvovec wie folgt ergänzt:**

Onasemnogen-Abeparvovec

Beschluss vom: 4. November 2021

In Kraft getreten am: 4. November 2021

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 18. Mai 2020):

Zolgensma ist indiziert zur Behandlung von:

- Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
- Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 4. November 2021):

- siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

- a) Patientinnen und Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (5q-SMA) Typ 1

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Nusinersen

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

- b) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 2 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Nusinersen

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

- c) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 3 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Therapie nach ärztlicher Maßgabe unter Auswahl von Nusinersen oder BSC

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

- d) präsymptomatische Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Nusinersen

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

Studienergebnisse nach Endpunkten:

a) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 1

Es liegen keine bewertbaren Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n.b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Morbidität	n.b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	n.b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

b) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 2 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

c) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 3 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

d) präsymptomatische Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

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

a) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 1

- b) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 2 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens
- c) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 3 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens
ca. 45 bis 65 Patientinnen und Patienten
- d) präsymptomatische Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens
keine Angabe möglich

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 Zolgensma (Wirkstoff: Onasemnogen-Abeparvovec) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 11. August 2021):

https://www.ema.europa.eu/documents/product-information/zolgensma-epar-product-information_de.pdf

Der Beschluss vom 20. November 2020 über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie regelt das Nähere.

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

4. Therapiekosten

Therapiekosten / Jahrestherapiekosten:

Patientengruppe a, b und d

Bezeichnung der Therapie	Therapiekosten bzw. Jahrestherapiekosten/Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Onasemnogen-Abeparvovec	2 314 550 € ¹
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Nusinersen 1. Jahr	566 745,01 €

¹ Einmalgabe

Bezeichnung der Therapie	Therapiekosten bzw. Jahrestherapiekosten/Patientin bzw. Patient
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar
Nusinersen Folgejahre	261 574,62 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Oktober 2021)

Patientengruppe c

Bezeichnung der Therapie	Therapiekosten bzw. Jahrestherapiekosten/Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Onasemnogen-Abeparvovec	2 314 550 € ¹
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	patientenindividuell unterschiedlich
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Nusinersen 1. Jahr	566 745,01 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar
Nusinersen Folgejahre	261 574,62 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Oktober 2021)

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 4. November 2021 in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 4. November 2021

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken