



Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie:

Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) und Anlage XIIa – Kombinationen von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V

Emicizumab (neues Anwendungsgebiet: moderate Hämophilie A, ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, mit schwerem Blutungsphänotyp)

Vom 17. August 2023

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 17. August 2023 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 20. Juli 2023 (BAnz AT 25.08.2023 B1) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

- I. In Anlage XII werden den Angaben zur Nutzenbewertung von Emicizumab gemäß dem Beschluss vom 5. September 2019 nach Nr. 4 folgende Angaben angefügt:

Emicizumab

Beschluss vom: 17. August 2023
In Kraft getreten am: 17. August 2023
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 23. Januar 2023):

Emicizumab (Hemlibra) wird angewendet als Routineprophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten mit Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel):

- mit Faktor-VIII-Hemmkörper
- ohne Faktor-VIII-Hemmkörper mit
 - schwerer Erkrankung (FVIII < 1 %)
 - mittelschwerer Erkrankung (FVIII \geq 1 % und \leq 5 %) mit schwerem Blutungsphänotyp.

Hemlibra kann bei allen Altersgruppen angewendet werden.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 17. August 2023):

Emicizumab (Hemlibra) wird angewendet als Routineprophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten mit Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel) ohne Faktor-VIII-Hemmkörper mit mittelschwerer Erkrankung (FVIII \geq 1 % und \leq 5 %) mit schwerem Blutungsphänotyp bei allen Altersgruppen.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Patientinnen und Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel, FVIII \geq 1% und \leq 5%) und einem schweren Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die für eine Routineprophylaxe in Frage kommen

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

- plasmatische oder rekombinante Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate, eingesetzt als Routineprophylaxe

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Emicizumab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

Patientinnen und Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel, FVIII \geq 1% und \leq 5%) und einem schweren Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die für eine Routineprophylaxe in Frage kommen

Es wurden keine geeigneten Daten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt.

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	n. b.	Es liegen keine bewertbaren 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 Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

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

Patientinnen und Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel, FVIII \geq 1% und \leq 5%) und einem schweren Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die für eine Routineprophylaxe in Frage kommen

ca. 220 – 240 Patientinnen und 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 Hemlibra (Wirkstoff: Emicizumab) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 10. Juli 2023):

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A23-10) sofern nicht anders indiziert.

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Emicizumab soll durch in der Behandlung der Hämophilie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers Schulungsmaterial für medizinisches Fachpersonal, Patienten/ Betreuungspersonen (Patientenpass und Trainingsmaterial) sowie für Laborpersonal zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält spezifische Informationen zum Umgang mit thrombotischer Mikroangiopathie und Thromboembolie, zur Anwendung von Bypassing-Präparaten und zum Einfluss von Emicizumab auf Gerinnungstests (Gefahr von Missinterpretationen).

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

Patientinnen und Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel, FVIII $\geq 1\%$ und $\leq 5\%$) und einem schweren Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die für eine Routineprophylaxe in Frage kommen

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient	
Zu bewertendes Arzneimittel:		
Emicizumab ²	Erwachsene	384 551,70 € - 410 681,38 €
	12 bis < 18 Jahre	275 719,98 € - 338 927, 55 €
	6 bis < 12 Jahre	182 847,56 € - 204 224,15 €
	< 6 Jahre	92 872,42 € - 112 975,85 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:		
<i>rekombinante Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate</i>		
Damoctocog alfa pegol		
	Erwachsene	191 354,96 € - 268 117,32 €
	12 bis < 18 Jahre	108 480,02 € - 229 903,28 €
Efmoroctocog alfa		
	Erwachsene	187 471,30 € - 312 537,77 €
	12 bis < 18 Jahre	112 162,31 € - 277 940,89 €
	6 bis < 12 Jahre	56 758,23 € - 168 515,56 €
	< 6 Jahre	33 919,45 € - 94 622,97 €
Lonoctocog alfa		
	Erwachsene	130 649,31 € - 472 695,54 €
	12 bis < 18 Jahre	74 518,18 € - 414 026,77 €

² Die Kosten stellen die kontinuierliche Gabe in der Erhaltungsphase dar.

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient	
	6 bis < 12 Jahre	57 099,04 € - 250 859,34 €
	< 6 Jahre	37 744,08 € - 140 764,69 €
Moroctocog alfa		
	Erwachsene	196 516,29 € - 574 322,03 €
	12 bis < 18 Jahre	111 488,15 € - 489 881,10 €
	6 bis < 12 Jahre	56 309,37 € - 294 693,70 €
	< 6 Jahre	28 718,77 € - 167 186,43 €
Octocog alfa		
	Erwachsene	166 158,24 € - 485 593,85 €
	12 bis < 18 Jahre	94 255,91 € - 414 200,38 €
	6 bis < 12 Jahre	47 610,86 € - 368 102,50 €
	< 6 Jahre	24 291,47 € - 207 429,50 €
Rurioctocog alfa pegol		
	Erwachsene	240 654,52 € - 293 231,11 €
	12 bis < 18 Jahre	138 595,93 € - 258 825,67 €
Simoctocog alfa		
	Erwachsene	141 277,88 € - 413 430,03 €
	12 bis < 18 Jahre	79 921,61 € - 352 657,53 €
	6 bis < 12 Jahre	40 526,10 € - 180 622,08 €
	< 6 Jahre	20 830,17 € - 119 849,58 €
Turoctocog alfa		
	Erwachsene	165 965,42 € - 398 170,94 €
	12 bis < 18 Jahre	94 628,26 € - 351 582,51 €
	6 bis < 12 Jahre	72 787,00 € - 260 590,55 €
	< 6 Jahre	48 039,82 € - 141 218,25 €
Turoctocog alfa pegol		
	Erwachsene	274 483,41 €
	12 bis < 18 Jahre	154 327,13 € - 243 957,25 €
Humane plasmatische Präparate		
	Erwachsene	119 808,78 € - 357 636,13 €
	12 bis < 18 Jahre	68 300,47 € - 305 578,00 €
	6 bis < 12 Jahre	34 714,93 € - 179 663,95 €
	< 6 Jahre	17 921,54 € - 102 422,65 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 1. August 2023)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

5. Benennung von Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können

Im Rahmen der Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V werden die folgenden Feststellungen getroffen:

Patientinnen und Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel, FVIII $\geq 1\%$ und $\leq 5\%$) und einem schweren Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die für eine Routineprophylaxe in Frage kommen

Folgende Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die aufgrund der arzneimittelrechtlichen Zulassung in einer Kombinationstherapie mit Emicizumab im Anwendungsgebiet des Beschlusses eingesetzt werden können, werden gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V benannt (Wirkstoffe und Handelsnamen):

Simoctocog alfa (Nuwiq, Vihuma), Turoctocog alfa pegol (Esperoct), Lonoctocog alfa (Afstyla), Rurioctocog alfa pegol (Adynovi), Damoctocog alfa pegol (Jivi), Turoctocog alfa (Novo Eight), Efmoroctocog alfa (Elocta)

Die Benennung von Kombinationen dient ausschließlich der Umsetzung des Kombinationsabschlages nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmern. Die getroffenen Feststellungen schränken weder den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum ein, noch treffen sie Aussagen über Zweckmäßigkeit oder Wirtschaftlichkeit.

II. In die Anlage XIIa der AM-RL werden folgende Angaben in alphabetischer Reihenfolge eingefügt:

„Wirkstoff des bewerteten Arzneimittels

Emicizumab

Beschluss gem. § 35a Absatz 3 SGB V vom

17. August 2023

Anwendungsgebiet des Beschlusses

Emicizumab (Hemlibra) wird angewendet als Routineprophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten mit Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel) ohne Faktor-VIII-Hemmkörper mit mittelschwerer Erkrankung (FVIII $\geq 1\%$ und $\leq 5\%$) mit schwerem Blutungsphänotyp bei allen Altersgruppen.

Patientengruppe

Patientinnen und Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A (hereditärer Faktor-VIII-Mangel, FVIII $\geq 1\%$ und $\leq 5\%$) und einem schweren Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper, die für eine Routineprophylaxe in Frage kommen

Benennung der Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V (Wirkstoffe und Handelsnamen)

Simoctocog alfa (Nuwiq, Vihuma), Turoctocog alfa pegol (Esperoct), Lonoctocog alfa (Afstyla), Rurioctocog alfa pegol (Adynovi), Damoctocog alfa pegol (Jivi), Turoctocog alfa (Novo Eight), Efmoroctocog alfa (Elocta)

Geltungsdauer der Benennung (seit... bzw. von... bis)

Seit 17. August 2023“

III. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 17. August 2023 in Kraft.

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

Berlin, den 17. August 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

Nutzenbewertungsverfahren umfasst mehrere Beschlüsse
Bitte geltende Fassung der Arzneimittel-Richtlinie/Anlage XII beachten.