

# 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) Vosoritid (Neubewertung wegen Überschreitung der 30 Mio. €-Umsatzgrenze: Achondroplasie,  $\geq 2$  Jahre)

Vom 15. Februar 2024

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 15. Februar 2024 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 15. Juni 2023 (BAnz AT 13.02.2024 B3) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

## **I. Die Anlage XII wird wie folgt geändert:**

1. Die Angaben zu Vosoritid in der Fassung des Beschlusses vom 18. März 2022 (BAnz AT 05.04.2022) werden aufgehoben.
2. Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Wirkstoff Vosoritid ergänzt.

## Vosoritid

Beschluss vom: 15. Februar 2024  
In Kraft getreten am: 15. Februar 2024  
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

### **Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 23. Oktober 2023):**

Voxzogo wird für die Behandlung von Achondroplasie bei Patienten ab 4 Monaten angewendet, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind. Die Diagnose Achondroplasie sollte durch entsprechende Gentests bestätigt werden.

### **Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 15. Februar 2024):**

Voxzogo wird für die Behandlung von Achondroplasie bei Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren angewendet, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind.

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

Patientinnen und Patienten mit Achondroplasie ab 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind

### **Zweckmäßige Vergleichstherapie:**

Best-Supportive-Care

*Als „Best-Supportive-Care“ (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet.*

### **Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Vosoritid gegenüber Best-Supportive-Care:**

Hinweis auf einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen

## **Studienergebnisse nach Endpunkten:<sup>1</sup>**

Patientinnen und Patienten mit Achondroplasie ab 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind

---

<sup>1</sup> Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A23-92) und dem Addendum (A24-08) sofern nicht anders indiziert.

### Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Es traten keine Todesfälle auf.
Morbidität	↑↑	Vorteil bei „Körpergröße (z-Score)“
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	↔	Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
Nebenwirkungen	↔	Insgesamt kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
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		

**Studie BMN 111-301:** RCT, Vosoritid+BSC vs. Placebo+BSC bei Kindern und Jugendlichen im Alter von 5 bis <18 Jahren über 52 Wochen

**Studie BMN 111-206:** RCT, Vosoritid+BSC vs. Placebo+BSC bei Kindern im Alter von 2 bis < 5 Jahren

### Mortalität

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC		Placebo + BSC		Intervention vs. Kontrolle RR [95 %-KI]; p-Wert <sup>b</sup>
	N <sup>a</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N <sup>a</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	
<b>Gesamtmortalität (im Rahmen der UEs erhoben)</b>					
206	15	0 (0)	16	0 (0)	-
301	60	0 (0)	61	0 (0)	-

**Morbidität**

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 LS MW [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 LS MW [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
<b>Körpergröße (z-Score)</b>							
206 Referenz- population USA <sup>c</sup>	15	-4,27 (0,81)	0,27 [0,04; 0,50]	16	-5,13 (1,15)	-0,06 [-0,28; 0,16]	0,33 [0,00; 0,67]; 0,051
301							
Referenz- population USA <sup>c</sup>	60	-5,13 (1,11)	0,27 [0,18; 0,36]	61	-5,14 (1,07)	-0,01 [-0,10; 0,09]	0,28 [0,17; 0,39]; < 0,001
Referenz- population Deutschland <sup>d</sup> (ergänzend dargestellt)	60	-5,69 (1,11)	0,28 [0,20; 0,35]	61	-5,68 (1,09)	-0,01 [-0,09; 0,07]	0,28 [0,19; 0,37]; < 0,001
Gesamt							0,28 [0,18; 0,39]; < 0,001
<b>Jährliche Wachstumsgeschwindigkeit [cm/Jahr] (ergänzend dargestellt)</b>							
206	15	4,74 (1,68)	1,99 [1,31; 2,67]	16	4,20 (1,78)	0,89 [0,23; 1,55]	1,10 [0,13; 2,07]; 0,028
301	60	4,26 (1,53)	1,71 [1,40; 2,01]	61	4,06 (1,20)	0,13 [-0,18; 0,45]	1,57 [1,22; 1,93]; < 0,001
Gesamt							1,51 [1,18; 1,85]; < 0,001
<b>Verhältnis Ober- zu Unterkörpersegment (ergänzend dargestellt)</b>							
206	15	2,35 (0,17)	-0,14 [-0,24; -0,04]	16	2,25 (0,19)	-0,08 [-0,18; 0,01]	-0,06 [-0,20; 0,09]; 0,425 <sup>b</sup>
301	60	1,98 (0,20)	-0,03 [-0,06; 0,00]	61	2,01 (0,21)	-0,02 [-0,05; 0,01]	-0,01 [-0,05; 0,02]; 0,506
Gesamt							-0,01 [-0,05; 0,02]; 0,463 <sup>e</sup>

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 LS MW [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 LS MW [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
<b>Körperproportionsverhältnisse der Extremitäten (ergänzend dargestellt)</b>							
Oberarmlänge zu Unterarmlänge							
206	15	1,10 (0,06)	0,00 [-0,07; 0,07]	16	1,08 (0,10)	0,0 [-0,02; 0,11]	-0,05 [-0,15; 0,05]; 0,309
301	58	1,08 (0,14)	0,02 [-0,01; 0,05]	61	1,05 (0,08)	0,03 [0,00; 0,06]	-0,01 [-0,04; 0,02]; 0,568
Gesamt							0,01 [-0,04; 0,02]; 0,364 <sup>e</sup>
Verhältnis Oberschenkellänge zu Länge von Knie bis Ferse							
206	15	0,64 (0,09)	0,01 [-0,02; 0,04]	16	0,64 (0,07)	-0,01 [-0,04; 0,02]	0,02 [-0,03; 0,06]; 0,490
301	58	0,65 (0,07)	0,01 [0,00; 0,03]	61	0,66 (0,05)	0,02 [0,00; 0,04]	-0,01 [-0,02; 0,01]; 0,568
Gesamt							0,02 [-0,03; 0,06]; 0,490 <sup>e</sup>
Verhältnis Oberschenkellänge zu Schienbeinlänge							
206	15	1,02 (0,18)	0,01 [-0,05; 0,08]	16	1,05 (0,13)	0,01 [-0,05; 0,07]	0,00 [-0,09; 0,10]; 0,965
301	58	1,07 (0,13)	0,01 [-0,01; 0,04]	61	1,08 (0,11)	0,03 [0,01; 0,06]	-0,02 [-0,05; 0,01]; 0,195
Gesamt							-0,02 [-0,05; 0,01]; 0,213 <sup>e</sup>
Verhältnis von Armspannweite zu Körpergröße im Stehen							
206	15	0,87 (0,06)	0,00 [-0,02; 0,02]	16	0,88 (0,03)	0,01 [-0,01; 0,03]	-0,01 [-0,03; 0,02]; 0,620
301	58	0,90 (0,06)	0,00 [-0,01; 0,00]	61	0,90 (0,04)	0,00 [0,00; 0,01]	-0,01 [-0,02; 0,00]; 0,123
gesamt							-0,01 [-0,02; 0,00]; 0,035 <sup>e</sup>

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 LS MW [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 LS MW [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
<b>Funktionelle Selbstständigkeit (WeeFIM)<sup>f</sup></b>							
Gesamtscore 206	15	63,7 (29,5)	12,3 (18,1) <sup>g</sup>	14	74,8 (20,4)	11,2 (11,1) <sup>g</sup>	1,1 [-10,44; 12,64]; 0,846 <sup>b</sup>
Selbstversorgung 206	15	22,3 (13,2)	5,8 (7,6) <sup>g</sup>	14	27,1 (10,6)	6,4 (6,0) <sup>g</sup>	-0,6 [-5,84; 4,64]; 0,816 <sup>b</sup>
Mobilität 206	15	19,0 (8,9)	3,9 (5,8) <sup>g</sup>	14	22,8 (6,4)	2,2 (3,4) <sup>g</sup>	1,7 [-1,96; 5,36]; 0,349 <sup>b</sup>
Kognition 206	15	22,5 (10,4)	2,6 (5,8) <sup>g</sup>	14	24,9 (7,2)	2,6 (4,0) <sup>g</sup>	0,0 [-3,82; 3,82]; > 0,999 <sup>b</sup>
301	Keine geeigneten Daten						
<b>Bewältigung und Einstellungen - QoLISSY (elternberichtet)<sup>h</sup></b>							
206	Endpunkt nicht erhoben						
Bewältigung 301	28	47,23 (19,93)	-1,26 (13,30) <sup>g</sup>	22	38,70 (19,27)	4,38 (18,74) <sup>g</sup>	-5,64 [-14,75; 3,47]; 0,219 <sup>i</sup>
Einstellungen 301	30	65,93 (27,80)	-1,46 (23,65) <sup>g</sup>	22	68,48 (27,40)	-4,26 (25,54) <sup>g</sup>	2,80 [-10,99; 16,60]; 0,685 <sup>i</sup>
<b>Bewältigung und Einstellungen - QoLISSY (patientenberichtet, Personen ≥ 8 Jahre)<sup>h</sup></b>							
206	Endpunkt nicht erhoben						
Bewältigung 301	27	50,75 (23,65)	-1,92 (21,54) <sup>g</sup>	36	47,91 (20,49)	-2,26 (23,54) <sup>g</sup>	0,34 [-11,22; 11,90]; 0,953 <sup>b</sup>
Einstellungen 301	27	58,33 (28,06)	5,79 (26,74) <sup>g</sup>	33	62,31 (26,81)	-2,65 (25,63) <sup>g</sup>	8,44 [-5,13; 22,01]; 0,218 <sup>b</sup>

### Lebensqualität

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
<b>QoLISSY (elternberichtet)<sup>h</sup></b>							
206	Endpunkt nicht erhoben						
Gesamtscore 301	31	56,68 (16,61)	-0,90 (16,98)	23	55,70 (20,40)	3,58 (14,47)	-4,47 [-13,29; 4,35]; 0,314 <sup>i</sup>
Körperlich 301	31	47,96 (19,28)	-3,06 (21,28)	23	44,27 (21,97)	3,84 (16,71)	-6,90 [-17,66; 3,85]
Sozial 301	31	56,86 (20,59)	0,62 (19,27)	23	57,85 (21,08)	6,89 (16,88)	-6,27 [-16,37; 3,83]
Emotional 301	31	65,22 (16,71)	-0,24 (16,68)	23	64,98 (23,31)	0,00 (14,66)	-0,25 [-9,00; 8,51]
Zukunft 301	29	70,78 (25,59)	2,67 (20,22)	22	75,00 (32,51)	0,68 (19,17)	1,99 [-9,25; 13,23]
Auswirkungen 301	31	58,27 (21,02)	-4,16 (17,39)	23	59,48 (21,45)	1,09 (16,87)	-5,24 [-14,73; 4,24]
<b>QoLISSY (patientenberichtet)<sup>h</sup></b>							
206	Endpunkt nicht erhoben						
Gesamtscore 301	26	64,59 (17,57)	4,34 (14,42)	35	66,40 (16,05)	-0,88 (19,02)	5,22 [-3,70; 14,14]; 0,246 <sup>b</sup>
Körperlich 301	27	56,36 (20,27)	6,73 (17,50)	37	60,95 (17,51)	-0,13 (21,10)	6,86 [-3,09; 16,81] <sup>b</sup>
Sozial 301	26	66,06 (19,92)	2,44 (15,68)	37	68,02 (20,51)	-2,14 (24,62)	4,58 [-6,38; 15,54] <sup>b</sup>
Emotional 301	27	71,36 (21,59)	2,65 (19,77)	35	70,23 (18,15)	0,80 (21,31)	1,85 [-8,73; 12,43] <sup>b</sup>

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
<b>PedsQL (elternberichtet, Personen ≥ 5 bis &lt; 8 Jahre)<sup>g</sup></b>							
206	Endpunkt nicht erhoben						
Gesamtscore 301	30	71,63 (16,82)	-1,73 (18,00)	21	70,94 (16,76)	0,41 (12,68)	-2,15 [-11,32; 7,03]; 0,640 <sup>i</sup>
Körperliche Funktion 301	30	69,96 (23,40)	-3,91 (24,19)	21	69,70 (19,39)	0,00 (17,20)	-3,92 [-16,27; 8,44]
Emotionale Funktionalität 301	30	72,83 (17,25)	4,50 (20,48)	21	76,96 (17,24)	0,95 (13,10)	3,55 [-5,91; 13,01]
Soziale Funktionalität 301	30	68,50 (19,08)	-2,50 (20,88)	21	65,00 (22,91)	4,52 (18,36)	-7,02 [-18,40; 4,35]
Schulische Funktionalität 301	30	76,17 (16,49)	-3,67 (18,75)	21	72,83 (21,99)	-3,57 (15,98)	-0,10 [-10,20; 10,01]
<b>PedsQL (patientenberichtet, Personen ≥ 8 Jahre)<sup>g</sup></b>							
206	Endpunkt nicht erhoben						
Gesamtscore 301	25	74,07 (11,87)	0,85 (13,80)	33	75,32 (14,98)	-2,62 (15,06)	3,47 [-4,25; 11,19]; 0,372 <sup>b</sup>
Körperliche Funktion 301	25	77,37 (14,11)	-0,24 (14,04)	33	77,03 (17,72)	-2,02 (16,27)	1,78 [-6,38; 9,94] <sup>b</sup>
Emotionale Funktionalität 301	24	75,18 (16,47)	1,88 (17,68)	33	76,29 (18,36)	0,11 (19,50)	1,77 [-8,32; 11,86] <sup>b</sup>
Soziale Funktionalität 301	25	73,39 (19,72)	-0,20 (25,68)	33	71,14 (19,52)	-5,61 (23,48)	5,41 [-7,58; 18,40] <sup>b</sup>

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
Schulische Funktionalität 301	25	68,39 (18,56)	2,40 (17,80)	33	75,93 (16,93)	-3,41 (18,97)	5,81 [-4,00; 15,62] <sup>b</sup>
<b>ITQOL</b> (Kinder ≥ 2 bis < 5 Jahre)							
Allgemeine Gesundheit 301	12	82,67 (17,71)	5,42 (16,85)	12	82,14 (15,90)	3,75 (17,60)	1,67 [-12,92; 16,25]; 0,815 <sup>i</sup>
Körperliche Fähigkeiten 206	14	68,44 (31,25)	7,38 (23,94)	14	77,90 (21,07)	-6,01 (9,83)	13,39 [-1,19; 27,96]; 0,070 <sup>i</sup>
Wachstum und Entwicklung 206	14	77,00 (17,22)	3,66 (9,05)	14	76,17 (13,95)	4,82 (11,62)	-1,16 [-9,25; 6,93]; 0,770 <sup>i</sup>
Schmerzen 206	14	87,78 (14,39)	-1,19 (20,11)	14	82,22 (12,94)	-1,19 (20,37)	0,00 [-15,73; 15,73]; > 0,999 <sup>i</sup>
Temperament und Stimmung 206	14	82,41 (9,27)	0,86 (4,76)	14	82,87 (8,49)	4,79 (9,60)	-3,93 [-9,92; 2,07]; 0,186 <sup>i</sup>
Verhalten 206	14	83,75 (11,60)	0,00 (9,81)	13	78,75 (15,79)	2,73 (23,36)	-2,73 [-17,55; 12,10]; 0,702 <sup>i</sup>
Gesamtverhalten 206	14	87,00 (15,56)	2,14 (19,29)	13	86,67 (19,24)	1,15 (21,42)	0,99 [-15,15; 17,12]; 0,901 <sup>i</sup>
Mit anderen zurechtkommen 206	keine geeigneten Daten						
Allgemeine Gesundheits- wahrnehmung 206	14	66,11 (13,57)	3,05 (12,44)	13	65,11 (21,00)	-1,07 (15,43)	4,12 [-6,96; 15,19]; 0,451 <sup>i</sup>

Endpunkt; Studie	Vosoritid + BSC			Placebo + BSC			Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	N <sup>a</sup>	Werte Studien- beginn MW (SD)	Änderung zu Woche 52 MW (SD) [95 %-KI]	Mittelwert- differenz [95%-KI]; p-Wert
Veränderung der Gesundheit 206	13	3,86 (0,66)	0,15 (0,69)	13	3,50 (0,85)	0,08 (0,64)	0,08 [-0,46; 0,62]; 0,771 <sup>i</sup>
301	Endpunkt nicht erhoben						

### Nebenwirkungen

Endpunkt Studie	Vosoritid + BSC		Placebo + BSC		Intervention vs. Kontrolle
	N <sup>a</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N <sup>a</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI]; p- Wert <sup>b</sup>
<b>Unerwünschte Ereignisse gesamt – ergänzend dargestellt</b>					
206	15	15 (100,0)	16	16 (100,0)	-
301	60	59 (98,3)	61	60 (98,4)	-
<b>Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)<sup>j</sup></b>					
206	15	1 (6,7)	16	1 (6,3)	1,07 [0,07; 15,57]; > 0,999
301	60	3 (5,0)	61	4 (6,6)	0,76 [0,18; 3,26]; 0,802
Gesamt					0,82 [0,23; 2,94]; 0,763 <sup>e</sup>
<b>Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad ≥ 3)<sup>j</sup></b>					
206	15	0 (0)	16	0 (0)	-
301	60	3 (5,0)	61	3 (4,9)	1,02 [0,21; 4,84]; > 0,999

<b>Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen</b>					
206	15	0 (0)	16	0 (0)	-
301	60	1 (1,7)	61	0 (0)	3,05 [0,13; 73,40]; 0,367
<b>Reaktionen an der Injektionsstelle (UEs)</b>					
206	15	12 (80,0)	16	7 (43,8)	1,83 [0,99; 3,37]; 0,042
301	60	51 (85,0)	61	50 (82,0)	1,04 [0,88; 1,22]; 0,710
Gesamt					1,13 [0,96; 1,33]; 0,135 <sup>e</sup>
<p>a. Anzahl der Patientinnen und Patienten, die in der Auswertung zur Berechnung der Effektschätzung berücksichtigt wurden (für die Studie 206 entspricht dies der relevanten Teilpopulation), die Werte bei Studienbeginn können auf anderen Patientenzahlen basieren.</p> <p>b. Berechnung des IQWiG</p> <p>c. Auswertung bezogen auf die US-amerikanische Referenzpopulation der CDC mit durchschnittlicher Statur.</p> <p>d. Post-hoc-Auswertung bezogen auf die vom Robert Koch-Institut veröffentlichten Wachstumsdaten aus Deutschland zur durchschnittlichen Körpergröße</p> <p>e. Berechnung des IQWiG: Metaanalyse mit festem Effekt</p> <p>f. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten eine bessere funktionelle Selbstständigkeit; positive Effekte (Intervention minus Kontrolle) bedeuten einen Vorteil für die Intervention (Skalenspannweite Gesamtscore 18 bis 126)</p> <p>g. MW (SD)</p> <p>h. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten eine geringere Morbidität / bessere gesundheitsbezogene Lebensqualität; positive Effekte (Intervention minus Kontrolle) bedeuten einen Vorteil für die Intervention (Skalenspannweite 0 bis 100).</p> <p>i. keine Angabe zur Berechnung des p-Werts; vermutlich t-Test</p> <p>j. enthalten potenziell erkrankungsbezogene Ereignisse, in der vorliegenden Datensituation wird davon ausgegangen, dass dies die Ergebnisse zu SUEs und schweren UEs nicht relevant beeinflusst</p> <p>Verwendete Abkürzungen:                      BSC: Best supportive Care; CDC: Centers for Disease Control and Prevention (USA); CTCAE: Common Terminology Criteria for Adverse Events; k. A.: keine Angabe; KI: Konfidenzintervall; LS: Least Squares; MD: Mittelwertdifferenz; MW: Mittelwert; n: Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens 1) Ereignis; N: Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; PedsQL: Pediatric Quality of Life Inventory; QoLISSY: The Quality of Life of Short Stature Youth; RCT: randomisierte kontrollierte Studie; RR: relatives Risiko; SD: Standardabweichung; SUE: schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE: unerwünschtes Ereignis; WeeFIM: Pediatric Functional Independence Measure II</p>					

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

Patientinnen und Patienten mit Achondroplasie ab 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind

ca. 330 bis 460 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 Voxzogo (Wirkstoff: Vosoritid) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 10. Januar 2024):

[https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/voxzogo-epar-product-information\\_de.pdf](https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/voxzogo-epar-product-information_de.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Vosoritid muss durch in der Therapie mit Wachstumsstörungen oder skelettalen Dysplasien erfahrene Ärztinnen und Ärzte erfolgen.

### 4. Therapiekosten

#### Jahrestherapiekosten:

Patientinnen und Patienten mit Achondroplasie ab 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Vosoritid	225 680,60 €
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Januar 2024)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

### 5. Benennung von Arzneimitteln 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 Achondroplasie ab 2 Jahren, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind

- Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.

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. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 15. Februar 2024 in Kraft.**

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 15. Februar 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken