

Idebenon

Beschluss vom: 17. März 2016 / 22. November 2019 gültig bis: 01.04.2022
In Kraft getreten am: 17. März 2016 / 22. November 2019
BAnz AT 04.05.2016 B3 / BAnz AT 13.12.2019 B3

Zugelassenes Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 08. September 2015):

Idebenon (Raxone®) wird zur Behandlung von Sehstörungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) angewendet.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie
--

Idebenon 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 10 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.

Ausmaß des Zusatznutzens:

Nicht Quantifizierbar

Studienergebnisse der RHODOS-Studie nach Endpunkten:¹

Mortalität				
Es wurden keine Ereignisse beobachtet.				
Morbidität				
Endpunkt	Geschätzte Veränderung ^a [95%-KI] (Veränderung in Buchstaben)		Geschätzte Differenz ^a Mittelwert ± Standardfehler [95%-KI] (Veränderung in Buchstaben)	p-Wert
	Idebenon	Placebo	Idebenon vs. Placebo	
Beste Verbesserung der Sehschärfe nach 24 Wochen^{b,c,d}				
N ^e	53	29		
Woche 24	-0,135 [-0,216 ; -0,054] (+6 Buchstaben)	-0,071 [-0,176 ; 0,034] (+3 Buchstaben)	-0,064 ± 0,061 [-0,184 ; 0,055] (3 Buchstaben)	0,291
Veränderung der besten Sehschärfe nach 24 Wochen^{b,d}				
N ^f	53	29		
Woche 24	-0,035 [-0,126; 0,055] (+1 Buchstabe)	0,085 [-0,032; 0,203] (-4 Buchstaben)	-0,120 ± 0,068 [-0,255; 0,014] (6 Buchstaben)	0,078
Veränderung der Sehschärfe des besten Auges (zu Studienbeginn) nach 24 Wochen^{b,d}				
N ^e	53	29		
Woche 24	-0,030 [-0,120; 0,060] (+1 Buchstabe)	0,098 [-0,020; 0,215] (-4 Buchstaben)	-0,128 ± 0,068 [-0,262; 0,006] (6 Buchstaben)	0,061
Endpunkt	Geschätzte Veränderung ^a [95%-KI]		Geschätzte Differenz ^a Mittelwert ± Standardfehler [95%-KI]	p-Wert
	Idebenon	Placebo	Idebenon vs. Placebo	
Veränderung der Protan- und Tritan-Farbwarnnehmung (Farbkontrastsensitivität) seit Studienbeginn^{b,d,g}				
N ^g	54	22		
Protan (% Farbkonfusion)				
Woche 24	1,37 [-4,67; 7,41]	5,25 [-2,47; 12,97]	-3,88 ± 3,28 [-10,37; 2,60]	0,239
Tritan (% Farbkonfusion)				
Woche 24	-7,27 [-16,63; 2,09]	6,36 [-5,58; 18,30]	-13,63 ± 5,05 [-23,61; -3,66]	0,008
Lebensqualität				
Es liegen keine verwertbaren Daten vor.				

¹ Daten aus der Studie RHODOS aus der Nutzenbewertung des G-BA vom 4. Januar 2016.

Nebenwirkungen	Idebenon (N=55) n (%)	Placebo (N=30) n (%)	RR [95%-KI]^h ARR [95%-KI]^h	p-Wertⁱ
Patienten mit mind. einem UE	49 (89,1)	26 (86,7)	1,26 [0,33; 4,85] 0,02 [-0,12; 0,17]	0,737
Davon Patienten mit mind. einem behandlungsbedingten UE	4 (7,3)	1 (3,3)	2,27 [0,24; 21,33] 0,04 [-0,05; 0,13]	0,652
Patienten mit mind. einem schweren UE	2 (3,6)	0	2,85 [0,13; 61,33] 0,04 [-0,03; 0,11]	0,538
Davon Patienten mit mind. einem schweren behandlungsbedingten UE	1 (1,8)	0	1,68 [0,07; 42,49] 0,02 [-0,04; 0,08]	1,000
Patienten mit mind. einem SUE ^j	1 (1,8)	1 (3,3)	0,54 [0,03; 8,90] -0,02 [-0,09; 0,06]	1,000
Tod	0	0	nicht schätzbar	
Patienten mit UE, das zum Therapieabbruch geführt hat ^k	1 (1,8)	0	1,68 [0,07; 42,49] 0,02 [-0,04; 0,08]	1,000
Patienten mit SUE, das zum Therapieabbruch geführt hat ^k	0	0	nicht schätzbar	

a Analyse gemäß MMRM (Observed cases: zu Woche 24 wurden zur jeweiligen Population für 6 Patienten Daten imputiert).

b ANCOVA-Modell

c primärer Endpunkt der Studie Rhodos

d Ausschluss von drei Patienten von der Analyse aufgrund von unzureichenden Sehschärfedaten zu Baseline oder Woche 24

e N = Anzahl Patienten in der Analyse

f N = Anzahl Augen/Patienten in der Analyse

g monozentrische Erhebung; N = Anzahl Augen in der Analyse

h vom pU zusätzlich im Dossier angegeben. Diese Angaben finden sich nicht im Studienbericht.

i Exakter Test nach Fisher

j SOC und PT

k Therapieabbrüche aufgrund von UE nach 24 Wochen

Verwendete Abkürzungen:

ARR: Absolute Risikoreduktion; KI: Konfidenzintervall; N: Anzahl Patienten bzw. Augen in der Analyse; n: Patienten mit Ereignis; PT: Preferred Term; RR: Relatives Risiko; SOC: Systemorganklasse; UE: unerwünschtes Ereignis; SUE: schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis

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

ca. 1 500 - 3 000 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 Raxone® (Wirkstoff: Idebenon) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 18. Januar 2016): http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/003834/WC500193836.pdf

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung sollte durch einen in der Therapie von Leberscher Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) erfahrenen Arzt erfolgen.

Es liegen keine Daten aus kontrollierten klinischen Studien über eine kontinuierliche Behandlung mit Idebenon über einen längeren Zeitraum als sechs Monate vor.

Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über das Arzneimittel zu erlangen. Die EMA wird sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar gemacht werden, und die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels gegebenenfalls aktualisieren.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten²:

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten pro Patient
Zu bewertendes Arzneimittel	
Idebenon	99 070,13 €

² Arzneimittelkosten abzüglich der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte, Stand Lauer-Taxe: 1.02.2016