

## **Tafamidis Meglumin**

Beschluss vom: 7. Juni 2012  
In Kraft getreten am: 7. Juni 2012  
BAnz AT 27.06.2012 B3

gültig bis: unbefristet

### **Zugelassenes Anwendungsgebiet**

Vyndaqel® ist indiziert zur Behandlung der Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, um die Einschränkung der peripheren neurologischen Funktionsfähigkeit zu verzögern.

### **1. Ausmaß des Zusatznutzens des Arzneimittels**

Tafamidis Meglumin 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:**

geringer Zusatznutzen

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

	Effektschätzer Tafamidis Meglumin vs. Placebo	Ergebnisse bzw. Ereignisanteil Tafamidis Meglumin vs. Placebo, absolute Risikoreduktion (ARR) <sup>2</sup>	p-Wert
<b>Mortalität</b>			
	Keine Todesfälle in der Studie		n.B.
<b>Morbidität</b>			
Neuropathy Impairment Score of the Lower Limb (NIS-LL) Responder <sup>3</sup> , Intention to treat (ITT)	Relatives Risiko 1,54 <sup>3</sup>	45,3 % vs. 29,5 %	0,068
NIS-LL Responder <sup>3</sup> (Transplantierte durch Imputation ersetzt)	Relatives Risiko 1,52 <sup>3</sup>	54,7 % vs. 36,1 % ARR 18,6 %	0,0367 bzw. 0,041 <sup>4</sup>
NIS-LL Responder (Mit Messungen zu Monat 18) <sup>5</sup>	Relatives Risiko 1,57 <sup>3</sup>	60,0 % vs. 38,1 %	0,040
<b>Lebensqualität</b>			
Differenz der Lebensqualitäts-Score Veränderung <sup>6</sup> (ITT)	Differenz der KQ Mittelwerte -5,2 [-11,8; 1,3]	KQ Mittelwert 2,0 vs. 7,2	0,116
Differenz der Lebensqualitäts-Score Veränderung <sup>6</sup> (Mit Messungen zu Monat 18) <sup>5</sup>	Differenz der KQ Mittelwerte -8,8 [-17,4; -0,2]	KQ Mittelwert 0,1 vs. 8,9	0,045
<b>Nebenwirkungen</b>			
Unerwünschte Ereignisse (UE) <sup>7</sup>	RR 0,95 [0,88; 1,04]	92,3 % vs. 96,8 %	>0,2
Schwerwiegende UE (SUE) <sup>7</sup>	RR 1,16 [0,37; 3,62]	9,2 % vs. 7,9 %	>0,2

<sup>1</sup> Fx-005 Studie, Angaben aus EPAR bzw. Fachinformation Vyndaqel®

<sup>2</sup> Angabe nur bei signifikanten Unterschieden

<sup>3</sup> Response: Änderungen weniger als 2 Punkte des „Neuropathy Impairment Score of the Lower Limb“ (NIS-LL), Daten der Fx-005 Studie, s. EPAR

<sup>4</sup> Der p-Wert 0,041 beruht auf einer nachträglichen Analyse der EMA, s. EPAR

<sup>5</sup> Die Analyse beruht nur auf 70 % der Patienten der ITT-Population

<sup>6</sup> Lebensqualität (Norfolk QOL-DN), kleinste Quadrate(KQ)-Mittelwerte. Höherer Wert entspricht schlechterer Lebensqualitätsbewertung, s. EPAR und Fachinformation

<sup>7</sup> Angaben für UE aus Dossier

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

Anzahl von Patienten mit Transthyretin-Amyloidose mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1, abzüglich der Patienten nach Lebertransplantation:

40 bis 104<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Daten aus dem Dossier des pharmazeutischen Unternehmers sowie Daten nach § 130b in Verbindung mit § 217f SGB V

## 3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

## 4. Therapiekosten

Transthyretin-Amyloidose bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer Polyneuropathie im Stadium 1

Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen pro Patient pro Jahr	Behandlungsdauer je Behandlung (Tage)	Behandlungstage pro Patient pro Jahr
Tafamidis Meglumine	kontinuierlich, 1 x täglich	kontinuierlich	365	365

Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Wirkstärke (mg)	Menge pro Packung (Kapseln)	Jahresdurchschnittsverbrauch (Kapseln)
Tafamidis Meglumine	20 mg	30	365

Kosten:

**Kosten der Arzneimittel:**

Bezeichnung der Therapie	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Tafamidis Meglumine (Vyndaqel®)	18.734,78 €	16.294,55 € [2,05 € <sup>1</sup> ; 2.438,18 € <sup>2</sup> ]

<sup>1</sup> Rabatt nach § 130 SGB V

<sup>2</sup> Rabatt nach § 130a SGB V

**Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen:** keine

**Jahrestherapiekosten:**

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten pro Patient
Tafamidis Meglumin	198.250,36 €