

**Tezacaftor/Ivacaftor** (Neues Anwendungsgebiet: zystische Fibrose, Kombinationstherapie mit Ivacaftor bei Patienten ab 6 bis < 12 Jahren (homozygot bzgl. F508del-Mutation))

Beschluss vom: 20. Mai 2021

gültig bis: unbefristet

In Kraft getreten am: 20. Mai 2021

BAnz AT 16.06.2021 B3

**Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 25. November 2020):**

Symkevi wird angewendet als Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor-Tabletten zur Behandlung der zystischen Fibrose (CF) bei Patienten ab 6 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind oder heterozygot für die F508del-Mutation und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T.

**Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 20. Mai 2021):**

Symkevi wird angewendet als Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor-Tabletten zur Behandlung der zystischen Fibrose (CF) von Kindern ab 6 Jahren bis < 12 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind.

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

Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 6 bis < 12 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind.

**Zweckmäßige Vergleichstherapie:**

Lumacaftor/Ivacaftor

**Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Tezacaftor/Ivacaftor in Kombination mit Ivacaftor gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:**

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

**Studienergebnisse nach Endpunkten:**

Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 6 bis < 12 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind.

Es liegen keine geeigneten Daten vor, die eine Bewertung des Zusatznutzens ermöglichen.

## 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.
<p>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</p>		

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

Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 6 bis < 12 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind.

ca. 470 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 Symkevi (Wirkstoff: Tezacaftor/Ivacaftor) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 1. April 2021):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor darf nur durch in der Therapie von Patienten mit zystischer Fibrose erfahrene Ärzte erfolgen.

#### 4. Therapiekosten

##### Jahrestherapiekosten:

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Tezacaftor/Ivacaftor	65.032,44 €
+ Ivacaftor <sup>1</sup>	100.977,84 € - 101.032,65 €
Gesamt:	166.010,28 € - 166.065,09 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Lumacaftor/Ivacaftor	148.415,91 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Steuer: 1. Mai 2021)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

<sup>1</sup> Die Spanne von Ivacaftor ergibt sich auf Grundlage unterschiedlicher Dosierungen in Abhängigkeit des Körpergewichts (< 30 kg KG bzw. ≥ 30 kg KG)