

Onasemnogen-Abeparvovec (Überschreitung 50 Mio. € Grenze: Spinale Muskelatrophie)

Beschluss vom: 4. November 2021
In Kraft getreten am: 4. November 2021
BAnz AT 07.12.2021 B3

gültig bis: unbefristet

Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 18. Mai 2020):

Zolgensma ist indiziert zur Behandlung von:

- Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
- Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 4. November 2021):

- siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

- a) Patientinnen und Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (5q-SMA) Typ 1

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Nusinersen

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

- b) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 2 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Nusinersen

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

- c) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 3 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Therapie nach ärztlicher Maßgabe unter Auswahl von Nusinersen oder BSC

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

- d) präsymptomatische Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Nusinersen

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Onasemnogen-Abeparvovec gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

Studienergebnisse nach Endpunkten:

- a) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 1

Es liegen keine bewertbaren Daten vor.

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	∅	Es liegen keine 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 für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

b) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 2 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine 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 für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

c) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 3 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine 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 für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

- d) präsymptomatische Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine 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 für die Nutzenbewertung verwertbaren Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

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

- a) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 1
- b) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 2 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens
- c) Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA Typ 3 und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens
ca. 45 bis 65 Patientinnen und Patienten
- d) präsymptomatische Patientinnen und Patienten mit 5q-SMA und bis zu 3 Kopien des SMN 2 Gens
keine Angabe möglich

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 Zolgensma (Wirkstoff: Onasemnogen-Abepravovec) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 11. August 2021):

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

Der Beschluss vom 20. November 2020 über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec bei spinaler Muskelatrophie regelt das Nähere.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

4. Therapiekosten

Therapiekosten / Jahrestherapiekosten:

Patientengruppe a, b und d

Bezeichnung der Therapie	Therapiekosten bzw. Jahrestherapiekosten/Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Onasemnogen-Abeparvovec	2 314 550 € ¹
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Nusinersen 1. Jahr	566 745,01 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar
Nusinersen Folgejahre	261 574,62 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Oktober 2021)

Patientengruppe c

Bezeichnung der Therapie	Therapiekosten bzw. Jahrestherapiekosten/Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Onasemnogen-Abeparvovec	2 314 550 € ¹
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	patientenindividuell unterschiedlich
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Nusinersen 1. Jahr	566 745,01 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar

¹ Einmalgabe

Bezeichnung der Therapie	Therapiekosten bzw. Jahrestherapiekosten/Patientin bzw. Patient
Nusinersen Folgejahre	261 574,62 €
zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	nicht quantifizierbar
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Oktober 2021)