

**Luspatercept** (Neubewertung eines Orphan Drugs nach Überschreitung der 30 Mio. Euro Grenze: Myelodysplastische Syndrome mit transfusionsabhängiger Anämie, vorbehandelt)

Beschluss vom: 2. November 2023  
In Kraft getreten am: 2. November 2023  
BAnz AT 30.11.2023 B3

gültig bis: unbefristet

**Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 25. Juni 2020):**

Reblozyl wird angewendet für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind.

**Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 2. November 2023):**

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

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

Erwachsene mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind

**Zweckmäßige Vergleichstherapie für Luspatercept:**

- eine bedarfsgerechte Transfusionstherapie mit Erythrozytenkonzentraten in Kombination mit einer Chelattherapie gemäß der Zulassung

**Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Luspatercept gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie**

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

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

Erwachsene mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind

### Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

| Endpunktkategorie                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                      | Effektrichtung/<br>Verzerrungspotential | Zusammenfassung                                                                                                                                                               |
|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| Mortalität                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             | ↔                                       | Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.                                                                                                                          |
| Morbidität                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             | ↔                                       | Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied; Vorteil in der Verschlechterung des Endpunktes Schlaflosigkeit, Nachteil in der Verschlechterung des Endpunktes Fatigue. |
| Gesundheitsbezogene Lebensqualität                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     | ↔                                       | Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied; Nachteil in der Verschlechterung der körperlichen Funktion                                                               |
| Nebenwirkungen                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                         | ↔                                       | Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.<br>Im Detail Nachteil in den UE (CTCAE-Grad ≥ 3) der Systemorganklasse „Erkrankungen des Nervensystems“                |
| Erläuterungen:<br>↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit<br>↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit<br>↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit<br>↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit<br>↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied<br>∅: Es liegen keine Daten vor.<br>n. b.: nicht bewertbar |                                         |                                                                                                                                                                               |

Studie MEDALIST: Luspatercept + BSC vs. Placebo + BSC

Datenschnitt: 26.11.2020 (finaler Datenschnitt)

<sup>1</sup>Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A23-44) sofern nicht anders indiziert.

## Mortalität

| Endpunkt                           | Luspatercept + BSC |                                                                                                            | Placebo + BSC |                                                                                                            | Intervention vs. Kontrolle                    |
|------------------------------------|--------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------------------------------------|
|                                    | N                  | Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI]<br><i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i> | N             | Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI]<br><i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i> | Hazard Ratio [95 %-KI]<br>p-Wert <sup>a</sup> |
| <b>Gesamtüberleben<sup>b</sup></b> |                    |                                                                                                            |               |                                                                                                            |                                               |
|                                    | 153                | 46,0 [42,0; n.b.]<br>45 (29,4)                                                                             | 76            | n.e. [43,1, n.b.]<br>24 (31,6)                                                                             | 0,99 [0,59; 1,64];<br>0,958                   |

## Morbidität

| Endpunkt                                                                          | Luspatercept + BSC |                                               | Placebo + BSC |                                               | Intervention vs. Kontrolle                        |
|-----------------------------------------------------------------------------------|--------------------|-----------------------------------------------|---------------|-----------------------------------------------|---------------------------------------------------|
|                                                                                   | N                  | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | N             | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | Relatives Risiko [95 %-KI]<br>p-Wert <sup>c</sup> |
| <b>Transfusionsvermeidung ≥ 24 Wochen<sup>d</sup></b>                             |                    |                                               |               |                                               |                                                   |
|                                                                                   | 153                | 20 (13,1)                                     | 76            | 1 (1,3)                                       | 9,84 [1,36; 71,31];<br>0,024                      |
| <b>Symptomatik (EORTC QLQ-C30 Symptomskalen)</b>                                  |                    |                                               |               |                                               |                                                   |
| Verbesserung um ≥ 10 Punkte (Studienbeginn im Vergleich zu Woche 25) <sup>e</sup> |                    |                                               |               |                                               |                                                   |
| Fatigue                                                                           | 109                | 32 (29,4)                                     | 54            | 24 (44,4)                                     | 0,67 [0,44; 1,01];<br>0,056                       |
| Übelkeit und Erbrechen                                                            | 110                | 17 (15,5)                                     | 54            | 5 (9,3)                                       | 1,71 [0,67; 4,38];<br>0,263                       |
| Schmerzen                                                                         | 109                | 25 (22,9)                                     | 54            | 14 (25,9)                                     | 0,86 [0,49; 1,50];<br>0,591                       |
| Dyspnoe                                                                           | 106                | 24 (22,6)                                     | 54            | 16 (29,6)                                     | 0,77 [0,45; 1,31];<br>0,335                       |
| Schlaflosigkeit                                                                   | 108                | 27 (25,0)                                     | 54            | 18 (33,3)                                     | 0,77 [0,47; 1,25];<br>0,290                       |
| Appetitverlust                                                                    | 109                | 22 (20,2)                                     | 53            | 9 (17,0)                                      | 1,21 [0,59; 2,46];<br>0,602                       |
| Verstopfung                                                                       | 110                | 31 (28,2)                                     | 53            | 13 (24,5)                                     | 1,16 [0,67; 2,01];<br>0,601                       |

| Endpunkt                                                                                    | Luspatercept + BSC |                                               | Placebo + BSC |                                               | Intervention vs. Kontrolle                     |
|---------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------|-----------------------------------------------|---------------|-----------------------------------------------|------------------------------------------------|
|                                                                                             | N                  | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | N             | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | Relatives Risiko [95 %-KI] p-Wert <sup>c</sup> |
| Diarrhö                                                                                     | 110                | 11 (10,0)                                     | 53            | 6 (11,3)                                      | 0,84 [0,33; 2,15]; 0,718                       |
| <b>Verschlechterung um ≥ 10 Punkte (Studienbeginn im Vergleich zu Woche 25)<sup>f</sup></b> |                    |                                               |               |                                               |                                                |
| Fatigue                                                                                     | 109                | 50 (45,9)                                     | 54            | 14 (25,9)                                     | 1,76 [1,07; 2,89]; 0,026                       |
| Übelkeit und Erbrechen                                                                      | 110                | 17 (15,5)                                     | 54            | 7 (13,0)                                      | 1,19 [0,51; 2,74]; 0,690                       |
| Schmerzen                                                                                   | 109                | 27 (24,8)                                     | 54            | 14 (25,9)                                     | 0,99 [0,56; 1,73]; 0,962                       |
| Dyspnoe                                                                                     | 106                | 30 (28,3)                                     | 54            | 10 (18,5)                                     | 1,56 [0,81; 3,01]; 0,186                       |
| Schlaflosigkeit                                                                             | 108                | 19 (17,6)                                     | 54            | 18 (33,3)                                     | 0,53 [0,30; 0,93]; 0,028                       |
| Appetitverlust                                                                              | 109                | 22 (20,2)                                     | 53            | 10 (18,9)                                     | 1,06 [0,53; 2,14]; 0,860                       |
| Verstopfung                                                                                 | 110                | 15 (13,6)                                     | 53            | 5 (9,4)                                       | 1,42 [0,54; 3,76]; 0,477                       |
| Diarrhö                                                                                     | 110                | 16 (14,5)                                     | 53            | 5 (9,4)                                       | 1,59 [0,57; 4,40]; 0,376                       |
| <b>Hospitalisierung (bis einschließlich Woche 24)</b>                                       |                    |                                               |               |                                               |                                                |
| Aufgrund jeglicher Ursache                                                                  | 153                | 34 (22,2)                                     | 76            | 17 (22,4)                                     | 0,99 [0,60; 1,64]; 0,977                       |

## Gesundheitsbezogene Lebensqualität

| Endpunkt                                                                                   | Luspatercept + BSC |                                               | Placebo + BSC |                                               | Intervention vs. Kontrolle                     |
|--------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------|-----------------------------------------------|---------------|-----------------------------------------------|------------------------------------------------|
|                                                                                            | N                  | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | N             | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | Relatives Risiko [95 %-KI] p-Wert <sup>c</sup> |
| <b>EORTC QLQ-C30</b>                                                                       |                    |                                               |               |                                               |                                                |
| Verbesserung um $\geq 10$ Punkte (Studienbeginn im Vergleich zu Woche 25) <sup>g</sup>     |                    |                                               |               |                                               |                                                |
| globaler Gesundheitsstatus                                                                 | 110                | 31 (28,2)                                     | 53            | 12 (22,6)                                     | 1,24 [0,69; 2,25];<br>0,476                    |
| körperliche Funktion                                                                       | 110                | 25 (22,7)                                     | 54            | 18 (33,3)                                     | 0,70 [0,42; 1,16];<br>0,163                    |
| Rollenfunktion                                                                             | 110                | 30 (27,3)                                     | 54            | 18 (33,3)                                     | 0,82 [0,50; 1,34];<br>0,425                    |
| emotionale Funktion                                                                        | 110                | 18 (16,4)                                     | 53            | 11 (20,8)                                     | 0,81 [0,41; 1,59];<br>0,542                    |
| kognitive Funktion                                                                         | 110                | 29 (26,4)                                     | 53            | 14 (26,4)                                     | 1,01 [0,58; 1,76];<br>0,968                    |
| soziale Funktion                                                                           | 110                | 26 (23,6)                                     | 53            | 16 (30,2)                                     | 0,76 [0,45; 1,30];<br>0,322                    |
| Verschlechterung um $\geq 10$ Punkte (Studienbeginn im Vergleich zu Woche 25) <sup>h</sup> |                    |                                               |               |                                               |                                                |
| globaler Gesundheitsstatus                                                                 | 110                | 33 (30,0)                                     | 53            | 11 (20,8)                                     | 1,47 [0,80; 2,67];<br>0,213                    |
| körperliche Funktion                                                                       | 110                | 34 (30,9)                                     | 54            | 7 (13,0)                                      | 2,33 [1,12; 4,87];<br>0,024                    |
| Rollenfunktion                                                                             | 110                | 35 (31,8)                                     | 54            | 19 (35,2)                                     | 0,90 [0,58; 1,41];<br>0,652                    |
| emotionale Funktion                                                                        | 110                | 28 (25,5)                                     | 53            | 14 (26,4)                                     | 0,99 [0,57; 1,72];<br>0,973                    |
| kognitive Funktion                                                                         | 110                | 29 (26,4)                                     | 53            | 17 (32,1)                                     | 0,83 [0,50; 1,36];<br>0,458                    |
| soziale Funktion                                                                           | 110                | 36 (32,7)                                     | 53            | 16 (30,2)                                     | 1,10 [0,68; 1,79];<br>0,687                    |

## Nebenwirkungen<sup>d</sup>

| Endpunkt                                                                   | Luspatercept + BSC |                                               | Placebo + BSC |                                               | Intervention vs. Kontrolle                |
|----------------------------------------------------------------------------|--------------------|-----------------------------------------------|---------------|-----------------------------------------------|-------------------------------------------|
|                                                                            | N                  | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | N             | Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) | Effektschätzer [95 %-KI] p-Wert           |
| <b>Unerwünschte Ereignisse gesamt<sup>i</sup></b> (ergänzend dargestellt)  |                    |                                               |               |                                               |                                           |
|                                                                            | 153                | 145 (94,8)                                    | 76            | 70 (92,1)                                     | –                                         |
| <b>Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)<sup>i</sup></b>            |                    |                                               |               |                                               |                                           |
|                                                                            | 153                | 40 (26,1)                                     | 76            | 16 (21,1)                                     | 1,25 [0,75; 2,08]; 0,395                  |
| <b>Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad ≥ 3)<sup>i,j</sup></b>      |                    |                                               |               |                                               |                                           |
|                                                                            | 153                | 55 (35,9)                                     | 76            | 27 (35,5)                                     | 1,01 [0,70; 1,45]; 0,978                  |
| <b>Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen<sup>i</sup></b> |                    |                                               |               |                                               |                                           |
|                                                                            | 153                | 12 (7,8)                                      | 76            | 4 (5,3)                                       | 1,54 [0,50; 4,79]; 0,454                  |
| <b>Erkrankungen des Nervensystems (SOC, schwere UEs)<sup>j,k</sup></b>     |                    |                                               |               |                                               |                                           |
|                                                                            | 153                | 8 (5,2)                                       | 76            | 0 (0)                                         | 8,50 [0,50; 145,34]; 0,044 <sup>l,m</sup> |

<sup>a</sup> HR und KI: Cox-Regressionsmodell, p-Wert: Log Rank Test, jeweils stratifiziert nach IPSS-R-Risikogruppe zu Baseline (sehr niedrig oder niedrig vs. intermediär) und durchschnittlicher Transfusionslast zu Baseline (≥ 6 Erythrozytenkonzentrat-Einheiten/8 Wochen vs. < 6 Erythrozytenkonzentrat-Einheiten/8 Wochen).

<sup>b</sup> Auswertung bezieht sich auf den Zeitraum von der 1. Dosis der Studienmedikation (Tag 1, Zyklus 1) bis zum finalen Datenschnitt (26.11.2020).

<sup>c</sup> RR, KI und p-Wert mittels CMH-Methode, stratifiziert nach IPSS-R-Risikogruppe zu Baseline (sehr niedrig oder niedrig vs. intermediär) und durchschnittlicher Transfusionslast zu Baseline (≥ 6 Erythrozytenkonzentrat-Einheiten/8 Wochen vs. < 6 Erythrozytenkonzentrat-Einheiten/8 Wochen).

<sup>d</sup> Auswertung bezieht sich auf den Zeitraum von der 1. Dosis der Studienmedikation (Tag 1, Zyklus 1) bis einschließlich Woche 24.

<sup>e</sup> Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer Abnahme des Scores um ≥ 10 Punkte im Vergleich zum Studienbeginn zu Woche 25 bei einer Skalenspannweite von 0 bis 100. Niedrigere (abnehmende) Werte bedeuten eine Verbesserung der Symptomatik.

<sup>f</sup> Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer Zunahme des Scores um ≥ 10 Punkte im Vergleich zum Studienbeginn zu Woche 25 bei einer Skalenspannweite von 0 bis 100. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten eine Verschlechterung der Symptomatik.

<sup>g</sup> Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer Zunahme des Scores um ≥ 10 Punkte im Vergleich zum Studienbeginn zu Woche 25 bei einer Skalenspannweite von 0 bis 100. Höhere (zunehmende) Werte bedeuten eine Verbesserung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität.

<sup>h</sup> Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer Abnahme des Scores um ≥ 10 Punkte im Vergleich zum Studienbeginn zu Woche 25 bei einer Skalenspannweite von 0 bis 100. Niedrigere (abnehmende) Werte bedeuten eine Verschlechterung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität.

<sup>i</sup> enthält Ereignisse der Grunderkrankung.

<sup>j</sup> operationalisiert als CTCAE-Grad ≥ 3; Die Einteilung des Schweregrads von UEs, für die keine CTCAE-Kriterien definiert sind, erfolgte durch die Prüferin / den Prüfer mittels einer 5-Punkte-Skala (Grad 1: mild; Grad 2: moderat; Grad 3: schwer; Grad 4: lebensbedrohlich; Grad 5: tödlich).

<sup>k</sup> umfasst überwiegend die folgenden Ereignisse (codiert nach MedDRA): Synkope (PT) und Präsynkope (PT).

<sup>l</sup> Berechnung des IQWiG von RR, KI (asymptotisch) und p-Wert (unbedingter exakter Test, CSZ-Methode nach Martín Andrés A und Silva Mato A); Im Fall von 0 Ereignissen in einem Studienarm wurde bei der Berechnung von Effekt und KI der Korrekturfaktor 0,5 in beiden Studienarmen verwendet.

<sup>m</sup> Diskrepanz zwischen p-Wert (exakt) und KI (asymptotisch) aufgrund unterschiedlicher Berechnungsmethoden.

Verwendete Abkürzungen:

CMH = Cochran-Mantel-Haenszel; CTCAE = Common Terminology Criteria for Adverse Events (gemeinsame Terminologiekriterien für unerwünschte Ereignisse); EORTC = European Organisation for Research and Treatment of Cancer; HR = Hazard Ratio; IPSS-R = Revised International Prognostic Scoring System; KI = Konfidenzintervall; MedDRA = Medizinisches Wörterbuch für Aktivitäten im Rahmen der Arzneimittelzulassung; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; n. b. = nicht berechenbar; PT = bevorzugter Begriff; QLQ-C30 = Quality of Life Questionnaire – Core 30; RR = relatives Risiko; SOC = Systemorganklasse; SUE = schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE = unerwünschtes Ereignis; vs. = versus

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

Erwachsene mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind

ca. 790 – 1860 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 Reblozyl (Wirkstoff: Luspatercept) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 29. August 2023):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Luspatercept soll nur durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit Myelodysplastischen Syndromen mit transfusionsabhängiger Anämie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie erfolgen.

Gemäß der Vorgaben der EMA hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers allen medizinischen Fachpersonen, die Luspatercept voraussichtlich anwenden werden, ein Informationspaket zur Verfügung zu stellen. Das Informationspaket enthält Informationen dazu, woher die aktuelle Fachinformation zu beziehen ist sowie eine Checkliste für medizinisches Fachpersonal, die vor Beginn jeder Behandlung, bei jeder Verabreichung und dann in regelmäßigen Abständen bei den Nachuntersuchungen einzusetzen ist. Weiterhin enthält das Informationspaket eine Patientenkarte, die das medizinische Fachpersonal Frauen im gebärfähigen Alter zum Zeitpunkt des Behandlungsbeginns aushändigen muss. Eine Behandlung mit Luspatercept darf nicht begonnen werden, wenn eine Frau schwanger ist. Luspatercept ist während der Schwangerschaft kontraindiziert. Die Patientinnen müssen während der Behandlung mit

Luspatercept hochwirksame Verhütungsmittel anwenden. Wenn eine Patientin schwanger wird, ist Luspatercept abzusetzen. Die Behandlung mit Luspatercept ist abzubrechen, wenn Patientinnen und Patienten nach neun Wochen Behandlung (drei Dosen) mit der höchsten Dosis keine Reduktion der Transfusionslast verzeichnen, sofern keine anderen Erklärungen für das fehlende Ansprechen gefunden werden (z. B. Blutungen, Operation, andere Begleiterkrankungen) oder immer, wenn eine inakzeptable Toxizität auftritt.

#### 4. Therapiekosten

##### Jahrestherapiekosten:

Erwachsene mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind

| Bezeichnung der Therapie                                                                                                      | Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient |
|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|----------------------------------------------|
| Zu bewertendes Arzneimittel:                                                                                                  |                                              |
| Luspatercept                                                                                                                  | 62 446,51 € - 124 893,02 €                   |
| Zweckmäßige Vergleichstherapie:                                                                                               |                                              |
| Bedarfsgerechte Transfusionstherapie mit Erythrozytenkonzentraten in Kombination mit einer Chelattherapie gemäß der Zulassung | patientenindividuell unterschiedlich         |

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Oktober 2023)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

Sonstige GKV-Leistungen:

| Bezeichnung der Therapie                                          | Art der Leistung                                                         | Kosten/ Einheit | Anzahl/ Zyklus                       | Anzahl/ Patientin bzw. Patient / Jahr | Kosten/ Patientin bzw. Patient / Jahr |
|-------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------|-----------------|--------------------------------------|---------------------------------------|---------------------------------------|
| <b>Zu bewertendes Arzneimittel</b>                                |                                                                          |                 |                                      |                                       |                                       |
| Luspatercept                                                      | Zuschlag für die Herstellung einer Reblozyl-haltigen parenteralen Lösung | 81 €            | 1                                    | 17,4                                  | 1 409,40 €                            |
| <b>Zweckmäßige Vergleichstherapie</b>                             |                                                                          |                 |                                      |                                       |                                       |
| Bedarfsgerechte Transfusionstherapie mit Erythrozytenkonzentraten | Patientenindividuell unterschiedlich                                     |                 |                                      |                                       |                                       |
| Chelattherapie                                                    |                                                                          |                 |                                      |                                       |                                       |
| Deferoxamin                                                       | Zuschlag für die Herstellung einer sonstigen parenteralen Lösung         | 54 €            | Patientenindividuell unterschiedlich |                                       |                                       |

**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:

Erwachsene mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS) mit Ringsideroblasten, mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko, die auf eine Erythropoetin-basierte Therapie nicht zufriedenstellend angesprochen haben oder dafür nicht geeignet sind

- Kein in Kombinationstherapie einsetzbarer Wirkstoff, der die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt.

Die Benennung von Kombinationen dient ausschließlich der Umsetzung des Kombinationsabschlages nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmen. Die getroffenen Feststellungen schränken weder den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum ein, noch treffen sie Aussagen über Zweckmäßigkeit oder Wirtschaftlichkeit.