

Atidarsagen autotemcel / OTL-200 (metachromatische Leukodystrophie)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V
(Ablauf Befristung)

A horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue background that spans the first 15 squares of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G26-21

Version: 1.0

Stand: 29.09.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2359

DOI: 10.60584/G26-21

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Atidarsagen autotemcel / OTL-200 (metachromatische Leukodystrophie) – Bewertung
gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

30.06.2026

Interne Projektnummer

G26-21

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G26-21>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0
Fax: +49 221 35685-1
E-Mail: info@iqwig.de
Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Atidarsagen autotemcel / OTL-200 (metachromatische Leukodystrophie); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V (Ablauf Befristung); Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G26-21>.

Schlagwörter

Atidarsagen autotemcel, Leukodystrophie – Metachromatische, Kind, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Atidarsagene autotemcel, Leukodystrophy – Metachromatic, Child, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

Für die vorliegende Dossierbewertung wurde keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen eingebunden.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Carolin Weigel
- Nadia Abu Rajab-Conrads
- Corinna ten Thoren
- Sarah Mostardt

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abbildungsverzeichnis	vi
Abkürzungsverzeichnis.....	vii
1 Hintergrund.....	1
2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	2
2.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	2
2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	2
2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	2
2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	5
2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	7
2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	7
2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	8
2.2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch.....	8
2.2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	8
2.2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	8
2.2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung.....	11
2.2.5 Versorgungsanteile.....	12
3 Literatur	13

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	7
Tabelle 2: Auswahl der DRGs pro Behandlungsschritt durch den pU für die Kostenberechnung der zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen.....	10
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	11

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (eigene Darstellung).....	3

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
ARSA	Arylsulfatase A
AMG	Arzneimittelgesetz
DRG	Diagnosis Related Group
EJ	Early juvenile (frühjuvenil)
GBA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
InEK	Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KHEntG	Krankenhausentgeltgesetz
LI	Late infantile (spätinfantil)
MLD	metachromatische Leukodystrophie
NUB	neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (GBA) beauftragte das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

- Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)
- Kosten der Therapie für die GKV

Das Dossier wurde dem IQWiG am 30.06.2026 übermittelt.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den GBA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der GBA.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des GBA sowie die Module 1 bis 4 des Dossiers des pU finden sich auf der Website des GBA (www.g-ba.de).

2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

2.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Der pU stellt die Erkrankung der metachromatischen Leukodystrophie (MLD), nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß des Dokuments Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels [1]. Demnach wird Atidarsagen autotemcel / OTL-200 zur Behandlung von metachromatischer Leukodystrophie (MLD) angewendet, die durch Mutationen in beiden Allelen des Gens für die Arylsulfatase A (ARSA) gekennzeichnet ist, welche zu einer Verringerung der enzymatischen Aktivität von ARSA führt:

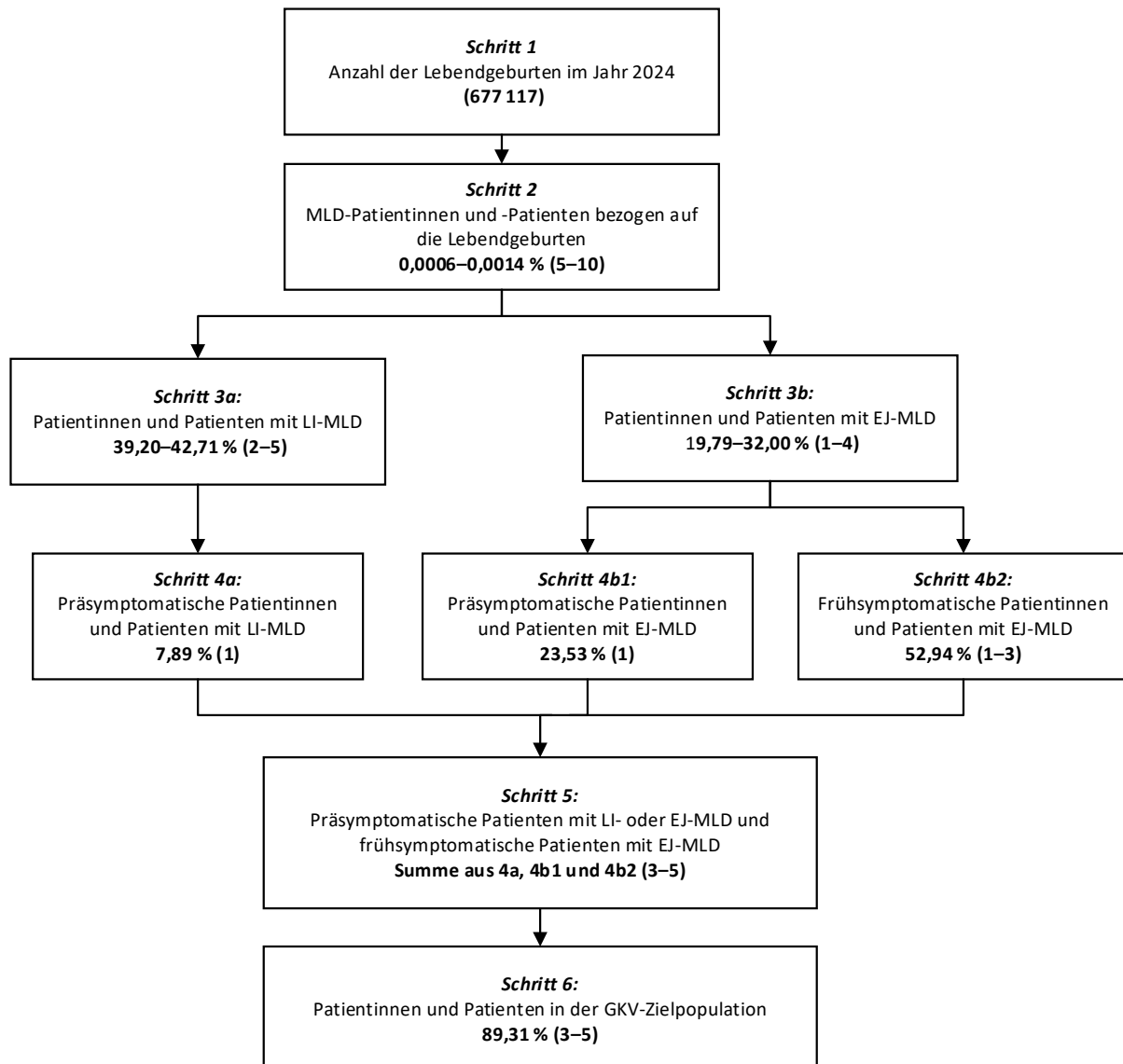
- bei Kindern mit im präsymptomatischen späten Säuglingsalter (pre-symptomatic late infantile) oder präsymptomatischen frühen Kindesalter (pre-symptomatic early juvenile) auftretenden Formen,
- bei Kindern mit der im frühsymptomatischen frühen Kindesalter (early symptomatic early juvenile) auftretenden Form, die jedoch noch selbständig gehen können, vor dem Einsetzen einer kognitiven Verschlechterung.

Der pU hat für den zu bewertenden Wirkstoff bereits in einem früheren Nutzenbewertungsverfahren ein Dossier vorgelegt. In diesem Verfahren hat der GBA mit Beschluss vom 20.06.2024 eine Befristung bis zum 01.07.2026 ausgesprochen [2,3].

2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) über mehrere Schritte. Das Vorgehen des pU wird zusammenfassend in Abbildung 1 dargestellt und im Anschluss näher erläutert.



Angabe der Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Klammern, es handelt sich jeweils um aufgerundete Werte

EJ: early juvenile; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LI: late infantile; MLD: metachromatische Leukodystrophie; pU: pharmazeutischer Unternehmer

Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (eigene Darstellung)

Schritt 1 und 2: Häufigkeit für MLD bei Neugeborenen

Zunächst bestimmt der pU die Häufigkeit der MLD bei Neugeborenen. Hierzu bildet er eine Spanne. Die Untergrenze von 0,6 Fällen pro 100 000 Geburten entnimmt er einer Studie von Heim et al. (1997) mit Daten aus Deutschland [4]. Dabei handelt es sich um eine klinikübergreifende registerbasierte Erhebung („Leukodystrophie-Register“) aus dem Jahr 1994, an der sich 353 Abteilungen für Pädiatrie, 300 neurologische Abteilungen und 24 neuropathologische Abteilungen in Deutschland beteiligt haben. Die Obergrenze von 1,47

Fällen pro 100 000 Geburten stammt aus der Orphanet-Berichtsreihe zu seltenen Krankheiten und bezieht sich laut Quelle auf europäische Daten (Stand 07/2025) [5]. Bezogen auf die Anzahl an Lebendgeburten in Deutschland aus dem Jahr 2024 (n = 677 117) [6], schätzt der pU, dass in Deutschland pro Jahr 5 bis 10 Kinder mit MLD geboren werden.

Schritt 3: Kinder mit den relevanten Krankheitsformen

Die relevanten Krankheitsformen der MLD für das vorliegende Anwendungsgebiet sind das späte Säuglingsalter (late infantile [LI]) und das frühe Kindesalter (early juvenile [EJ]) [1]. Die Abgrenzung der beiden Formen ist abhängig vom Alter. Zur Bestimmung entsprechender Anteile zieht der pU erneut die Studie von Heim et al. (1997) [4] sowie eine Studie von Santhanakumaran et al. (2022) [7] heran, in der Daten von 96 Patientinnen und Patienten mit genetisch / biochemisch bestätigter MLD aus dem deutschen Forschungsnetzwerk LEUKONET analysiert wurden.

Von 125 Patientinnen und Patienten mit MLD, die in der Studie von Heim et al. (1996) [4] identifiziert wurden, lag laut Publikation bei 49 (39,20 %) die Krankheitsform der LI-MLD vor. In der Studie von Santhanakumaran et al. (2022) [7] lag bei 41 von 96 Patientinnen und Patienten (42,71 %) eine LI-MLD vor. Aus diesen beiden Werten bildet der pU eine Spanne, überträgt diese auf die Anzahl aus Schritt 2 und weist eine Anzahl von 2 bis 5 Patientinnen und Patienten mit LI-MLD aus (Schritt 3a).

Entsprechend geht der pU für die Form EJ vor: Aus der Studie von Heim et al. berechnet er einen Anteil von 32,00 % (40 von 125 Patientinnen und Patienten) und aus der Studie von Santhanakumaran et al. (2022) [7] einen Anteil von 19,79 % (19 von 96 Patientinnen und Patienten). Hieraus bildet er eine Spanne von 19,79 % bis 32,00 %, die er auf die Anzahl aus Schritt 2 überträgt und letztlich eine Anzahl von 1 bis 4 Patientinnen und Patienten mit EJ-MLD (Schritt 3b) ausweist.

Schritt 4: Kinder mit dem relevanten Symptomstatus in den relevanten Krankheitsformen

Das vorliegende Anwendungsgebiet beschränkt sich auf die Behandlung von präsymptomatischer LI- und EJ-MLD sowie auf frühsymptomatische EJ-MLD [1]. Der pU versteht unter Präsymptomatik die Abwesenheit von Symptomen und klinischen Anzeichen, die mittels körperlicher Untersuchung oder Beobachtung der Patientinnen und Patienten festgestellt werden können. Zur Bestimmung der Anteile des relevanten Symptomstatus greift der pU erneut auf die Studie von Santhanakumaran et al. (2022) [7] zurück. Dort finden sich Angaben zum Anteil der präsymptomatischen Kinder u. a. in den beiden Gruppen LI und EJ sowie Angaben zum Anteil der Kinder, die bereits klinische Merkmale aufweisen (frühsymptomatische Kinder). Der Beginn der klinischen Symptome der MLD wurde definiert anhand der – von den Eltern berichteten und durch medizinische Unterlagen belegten – ersten Anzeichen in den motorischen, kognitiven und verhaltensbezogenen Funktionen,

einschließlich einer Stagnation oder eines Rückgangs der Entwicklung. Die klinischen Merkmale bei Ausbruch der Erkrankung wurden in der Studie klassifiziert in motorische, kognitive oder gemischte (motorische und kognitive) Symptome. Der pU geht im Rahmen seiner Anteilsermittlung so vor, dass er zunächst Patientinnen und Patienten ausschließt, bei denen keine Angaben zum Symptomstatus vorliegen (3 mit LI-MLD bzw. 2 EJ-MLD). Mit Bezug auf frühsymptomatische EJ-MLD berücksichtigt er zudem ausschließlich solche Patientinnen und Patienten, bei denen eine rein motorische Symptomatik vorliegt. Hieraus berechnet er folgende Anteilswerte, die er auf die relevante Krankheitsform aus Schritt 3a bzw. Schritt 3b überträgt:

- 7,89 % (3 von 38) und entsprechend 1 präsymptomatische LI-MLD Patientin und Patient (Schritt 4a).
- 23,53 % (4 von 17) und entsprechend 1 präsymptomatische EJ-MLD Patientin und Patient (Schritt 4b1).
- 52,94 % (9 von 17) und entsprechend 1 bis 3 frühsymptomatische EJ-MLD Patientinnen und Patienten.

Schritt 5: Gesamtzahl der Kinder in der Zielpopulation

In Schritt 5 addiert der pU die Teilergebnisse aus den Schritten 4a, 4b1 und 4b2 jeweils für die Unter- und Obergrenze separat zu einer Spanne von insgesamt 3 bis 5 Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation.

Schritt 6: GKV-Zielpopulation

Der pU ermittelt einen GKV-Anteil in Höhe von 89,31 % [8,9]. Übertragen auf die Anzahlen aus Schritt 5 ergibt sich weiterhin eine Anzahl von 3 bis 5 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Ermittlung der Zielpopulation ist rechnerisch weitgehend nachvollziehbar. Es liegen jedoch methodische Limitationen und Unsicherheiten vor.

Die angegebene Spanne der GKV-Zielpopulation liegt trotz der unten beschriebenen Unsicherheit und der systematischen Aufrundung in den einzelnen Rechenschritten – insbesondere aufgrund ihres geringen Gesamtumfangs – in einer weitgehend plausiblen Größenordnung. Im Folgenden werden die kritischen Aspekte der Herleitung erläutert.

Zu Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit MLD

Es ist zunächst anzumerken, dass die Untergrenze, die der pU aus der Studie von Heim et al. (1997) heranzieht, auf Daten basiert, die vor über 30 Jahren gewonnen wurden und damit eine eingeschränkte Aktualität aufweisen. Für die Obergrenze ist darauf hinzuweisen, dass die

Angaben des Orphanet-Berichts zwar auf systematischen Literaturrecherchen zur Abschätzung der Häufigkeit seltener Krankheiten in Europa basieren, jedoch keine Angaben über den Veröffentlichungszeitraum der eingeschlossenen Studien enthalten. Die Autorinnen und Autoren von Orphanet weisen zudem insbesondere darauf hin, dass eine Bewertung der Validität der publizierten Studien nicht erfolgt [5].

Zu Schritt 3: Kinder mit den relevanten Krankheitsformen

Zur Einteilung der MLD in die Krankheitsformen LI und EJ zieht der pU zur Bildung einer Spanne Angaben von Heim et al. (1997) [4] sowie von Santhanakumaran et al. (2022) [7] heran. Dabei ist anzumerken, dass für diese beiden Krankheitsformen in den Studien unterschiedliche Altersgrenzen definiert sind:

- Bei Heim et al. (1997) [4] werden alle MLD-Fälle mit Diagnose < 4 Jahre der LI-Gruppe zugeordnet, während bei Santhanakumaran et al. (2022) [7] die MLD-Fälle mit Diagnose < 2,5 Jahre der LI-Gruppe zugewiesen wurden.
- Die EJ-Gruppe wird bei Santhanakumaran et al. (2022) [7] definiert mit einer Diagnose < 6 Jahre. Bei Heim et al. (1997) [4] wird nicht zwischen den Formen EJ und late juvenile unterschieden, sondern ausschließlich die juvenile Form beschrieben, für die ein Alter zwischen 4 bis 6 Jahre angegeben wird.

Die unterschiedliche Operationalisierung der Altersklassen für das Vorliegen einer LI- bzw. EJ-MLD führt insbesondere bei den vom pU herangezogenen Anteilswerten aus Heim et al. (1997) [4] zur Unsicherheit, da davon auszugehen ist, dass die Einteilung bei Santhanakumaran et al. (2022) [7] dem aktuellen Stand der Forschung entspricht [10-12]. Infolgedessen besteht auch eine fragliche Übertragbarkeit der Anteilswerte, die zum relevanten Symptomstatus aus der Studie von Santhanakumaran et al. (2022) [7] gewonnen wurden (Schritt 4), auf die Anzahlen aus Schritt 3, die auf Grundlage von Heim et al. ermittelt wurden.

Abschließend ist darauf hinzuweisen, dass in der Studie von Heim et al. (1997) nicht bei allen Patientinnen und Patienten Angaben zur Krankheitsform vorlagen (13 von 125 mit unbekannter Form). Werden diese herausgerechnet, so ergeben sich leicht höhere Anteile für das Vorliegen einer LI-MLD bzw. EJ-MLD. Dies hat jedoch in der vorliegenden Berechnung keine Auswirkung auf die Größe der GKV-Zielpopulation.

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

Im vorangegangenen Verfahren zu Atidarsagen autotemcel / OTL-200 in diesem Anwendungsgebiet aus dem Jahr 2021 wurden 1 bis 3 Patientinnen und Patienten vom pU hergeleitet und vom GBA beschlossen [2,3].

Die aktuelle Herleitung des pU unterscheidet sich in folgenden Punkten:

- in Schritt 1 wurden die Lebendgeburten im Jahr 2024 herangezogen (677 117), im früheren Verfahren der Durchschnitt der Jahre 2015 bis 2019 (776 046),
- in Schritt 2 wurde für die Obergrenze ein aktuellerer, niedrigerer Wert von Orphanet herangezogen (0,00147 % statt 0,002 %),
- für die Schritte 3 und 4 verwendet der pU ein abweichendes Vorgehen, mit teils aktuelleren Daten.

Insgesamt ist das vorliegende Vorgehen aufgrund der Aktualisierung von Daten und konkreter Anteilswerte zum relevanten Symptomstatus vorzuziehen.

2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU geht davon aus, dass in den nächsten 5 Jahren keine wesentlichen Änderungen hinsichtlich der epidemiologischen Kennzahlen zu erwarten sind. Er weist jedoch darauf hin, dass sich durch den Einsatz eines Neugeborenen Screenings auf MLD insbesondere mit Bezug auf Patientinnen und Patienten in der präsymptomatischen Phase die Anzahl der GKV-Zielpopulation verändern könnte.

2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Atidarsagen autotemcel / OTL-200	Behandlung von MLD, die durch Mutationen in beiden Allelen des Gens für die ARSA gekennzeichnet ist, welche zu einer Verringerung der enzymatischen Aktivität von ARSA führt: ▪ bei Kindern mit im präsymptomatischen späten Säuglingsalter- (pre-symptomatic late infantile) oder präsymptomatischen frühen Kindesalter (pre-symptomatic early juvenile) auftretenden Formen, ▪ bei Kindern mit der im frühsymptomatischen frühen Kindesalter (early symptomatic early juvenile) auftretenden Form, die jedoch noch selbständig gehen können, vor dem Einsetzen einer kognitiven Verschlechterung.	3–5	Die angegebene Spanne der GKV-Zielpopulation liegt trotz Unsicherheiten und der systematischen Aufrundung in den einzelnen Rechenschritten in einer weitgehend plausiblen Größenordnung.
a. Angabe des pU ARSA: Arylsulfatase A; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; MLD: metachromatische Leukodystrophie pU: pharmazeutischer Unternehmer			

2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

2.2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Atidarsagen autotemcel / OTL-200 entsprechen der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels [1]. Das Zellprodukt wird 1-malig verabreicht.

Der pU gibt an, dass 1 oder mehr Infusionsbeutel des Wirkstoffs zu je 10 bis 20 ml und einer Konzentration von 2 bis 10×10^6 Zellen/ml verabreicht werden. Die empfohlene Mindestdosis beträgt 3×10^6 CD34⁺-Zellen/kg Körpergewicht [1].

2.2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe zum 15.06.2026 wieder. Der Wirkstoff ist von der Umsatzsteuerpflicht befreit. Der Wirkstoff wird an qualifizierte Behandlungszentren direkt vertrieben und unterliegt nicht der Arzneimittelpreisverordnung. Laut Informationen des Instituts für das Entgeltsystem im Krankenhaus (InEK) kann für das Jahr 2026 für Atidarsagen autotemcel ein krankenhausindividuelles Entgelt gemäß § 6 Abs. 2 Krankenhausentgeltgesetz (KHEntG) für neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden (NUB) vereinbart werden [13,14].

2.2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt an, dass die Behandlung mit Atidarsagen autotemcel / OTL-200 folgende Schritte umfasst, für die Kosten zusätzlich notwendiger GKV-Leistungen anfallen:

- Voruntersuchungen,
- Mobilisierung (Zellgewinnung) und Stammzellentnahme mittels Apherese,
- myeloablative Konditionierung und Verabreichung von Atidarsagen autotemcel / OTL-200 sowie Nachbeobachtung.

Aufgrund der Komplexität und der Seltenheit der Behandlung mit Atidarsagen autotemcel / OTL-200 geht der pU von einer ausschließlich stationären Behandlung in allen Schritten aus. Er ermittelt hierfür jeweils die Kosten gemäß den Fallpauschalen (Diagnosis related Group [DRG]) für die Vergütung von allgemeinen Krankenhausleistungen, die im Rahmen der stationären Gabe von Atidarsagen autotemcel / OTL-200 anfallen. Diese sind in der folgenden Tabelle 2 dargestellt und sind nachvollziehbar.

Als Diagnose legt der pU gemäß Internationaler statistischer Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation (ICD-10-GM) [15] den Code E75.2 Sonstige Sphingolipidosen u. a. inkl.: Metachromatische Leukodystrophie zugrunde.

Zur Ermittlung der DRG zieht der pU den DRG-Grouper der DRG-Research-Group Münster [16] heran, der auf folgender Formel basiert: (Bundesbasisfallwert 2026 × DRG-Bewertungsrelation) + (Pflegeentgeltwert × Pflegebewertungsrelation pro Tag × mittlere Verweildauer bzw. herangezogene Spanne). Die zugehörigen Angaben stammen aus dem Fallpauschalen-Katalog Version 2026 des InEK [17]. Der pU legt einen Bundesbasisfallwert in Höhe von 4570,64 € [18] und einem Pflegeentgeltwert in Höhe von 250 € [19] zugrunde. Dabei ist zu beachten, dass die tatsächlichen Kosten, die auf Basis der DRG-Erlöse für die GKV entstehen, je nach Komplexitätsgrad des Falles abweichen können.

Aus Sicht des pUs fallen für die Abrechnung der oben aufgelisteten 3 Schritte die DRGs B85C, A42B und A15B an. Die Summe der zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen Kosten ergibt sich aus der Addition der Kosten für alle 3 DRGs. Dabei ist zu berücksichtigen, dass die Kosten der DRG A41B (für Zellgewinnung und Stammzellentnahme mittels Apherese) in Höhe von 10 190,10 € von der Gesamtsumme abzuziehen sind. Diese Kosten werden durch Orchard Therapeutics getragen, da die Zellgewinnung Teil der Herstellung des Arzneimittels gemäß § 4 Absatz 14 AMG ist.

Tabelle 2: Auswahl der DRGs pro Behandlungsschritt durch den pU für die Kostenberechnung der zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen

Behandlungsschritt ^a	DRG ^a	Kosten in € ^{a, b}	Annahmen des pU
Voruntersuchungen	▪ DRG B85C „Degenerative Krankheiten des Nervensystems ohne hochkomplexe Diagnose, ohne äußerst schwere oder schwere CC oder ein Belegungstag, mit komplexer Diagnose, zerebrale Lähmungen oder Delirium, Alter > 1 Jahr“	1314,57	▪ Verweildauer: 1 Tag
Mobilisierung (Zellgewinnung) und Stammzellentnahme mittels Apherese	▪ DRG A42B „Stammzellentnahme bei Eigenspender, Alter < 16 Jahre oder ohne schwerste CC“	10 190,10 ^c	▪ Verweildauer: mittlere Verweildauer 6,2 Tage ▪ Die mit diesen Leistungen assoziierten Kosten werden durch Orchard Therapeutics getragen, da die Zellgewinnung Teil der Herstellung des Arzneimittels gemäß § 4 Absatz 14 AMG ist und somit bereits Bestandteil des Herstellungsprozesses ist.
Stammzelltransfusion	▪ DRG A15B „Knochenmarktransplantation / Stammzelltransfusion, autogen, außer bei Plasmozytom, Alter < 18 Jahre, oder bestimmte Entnahme oder intensivmedizinischer Komplexbehandlung > 558 / 552 / 552 Aufwandspunkte“	53 997,37–104 751,86 ^c	▪ Verweildauer: 33 bis 89 Tage ▪ Inkl. myeloablative Konditionierung und anschließende Infusion des Zellproduktes

a. Angabe des pU

b. Für die Berechnung bzw. Bestimmung der Entgelte zieht der pU die Angaben aus dem Fallpauschalenkatalog Version 2026 des InEK [17] heran.

c. Es können weitere Kosten für unbewertete Zusatzentgelte anfallen, beispielsweise bei der DRG A42B Filgrastim (ZE2026-175) und Plerixaflor (ZE2026-209) oder bei der DRG A15B Busulfan (ZE2026-150). Diese werden krankenhausindividuell verhandelt und sind daher nicht bezifferbar.

AMG: Arzneimittelgesetz; CC: Komplikationen oder Komorbiditäten; DRG: Diagnosis Related Group; InEK: Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus; pU: pharmazeutischer Unternehmer; ZE: Zusatzentgelt

2.2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Atidarsagen autotemcel / OTL-200	Behandlung von MLD, die durch Mutationen in beiden Allelen des Gens für die ARSA gekennzeichnet ist, welche zu einer Verringerung der enzymatischen Aktivität von ARSA führt: - bei Kindern mit im präsymptomatischen späten Säuglingsalter- (pre-symptomatic late infantile) oder präsymptomatischen frühen Kindesalter (pre-symptomatic early juvenile) auftretenden Formen, - bei Kindern mit der im fröhsymptomatischen frühen Kindesalter (early symptomatic early juvenile) auftretenden Form, die jedoch noch selbständig gehen können, vor dem Einsetzen einer kognitiven Verschlechterung.	2 125 000 ^{b, c}	65 502,04–152 256,53	0	2 190 502,04–2 277 256,53 ^d	Die Angaben des pU zu den Arzneimittelkosten sind plausibel. Die Kosten für zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen enthalten Leistungen für die DRG A41B (für Zellgewinnung und Stammzellentnahme mittels Apherese) in Höhe von 10 190,10 €. Diese Kosten werden durch Orchard Therapeutics getragen, da die Zellgewinnung Teil der Herstellung des Arzneimittels gemäß § 4 Absatz 14 AMG ist. Sie sind somit von der Gesamtsumme abzuziehen.
a. Angabe des pU b. Abweichend von dem in der Lauer-Taxe ausgewiesenen Erstattungsbetrag kann ein krankenhausindividuelles NUB-Entgelt vereinbart werden. c. ohne Mehrwertsteuer d. Je nach Komplexitätsgrad des Falles, möglicher Nebendiagnosen, anderer patientenindividueller Kriterien oder abweichender Verweildauer können die tatsächlichen Kosten, die auf Basis der DRG-Erlöse für die GKV entstehen, abweichen. AMG: Arzneimittelgesetz; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

2.2.5 Versorgungsanteile

Der pU macht keine quantitativen Angaben zu den erwarteten Versorgungsanteilen.

3 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. European Medicines Agency. Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels Libmeldy - Stand: 16.12.2025. 2025.
2. Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII –Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V; Atidarsagen autotemcel (Metachromatische Leukodystrophie mit biallelischer Mutation im ARSA-Gen) [online]. 2021. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5103/2021-11-04_AM-RL-XII_Atidarsagen-autotemcel_D-678.pdf.
3. Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Änderung der Angaben zur Geltungsdauer eines Beschlusses über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V); Atidarsagen autotemcel (Metachromatische Leukodystrophie mit biallelischer Mutation im ARSA-Gen) [online]. 2024 [Zugriff: 02.09.2026]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-6662/2024-06-20_AM-RL-XII_Atidarsagen-autotemcel_D-678_BAnz.pdf.
4. Heim P, Claussen M, Hoffmann B et al. Leukodystrophy incidence in Germany. Am J Med Genet 1997; 71(4): 475–478.
5. Orphanet. Orphanet Berichtsreihe - Prävalenzen und Inzidenzen seltener Krankheiten: Bibliografische Angaben - Nummer 1, Juli 2025. 2025.
6. Statistisches Bundesamt. Lebendgeborene: Deutschland, Jahre, Geschlecht. 2026.
7. Santhanakumaran V, Groeschel S, Harzer K et al. Predicting clinical phenotypes of metachromatic leukodystrophy based on the arylsulfatase A activity and the ARSA genotype?–Chances and challenges. Mol Genet Metab 2022; 137(3): 273–282.
8. Bundesministerium für Gesundheit. Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand - Jahresdurchschnitt 2025. 2026.
9. Statistisches Bundesamt. 16. koordinierte Bevölkerungsvorausberechnung für Deutschland. Variante 2: Moderate Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, Lebenserwartung und Wanderungssaldo (G2L2W2). 2025.
10. Fumagalli F, Calbi V, Natali Sora MG et al. Lentiviral haematopoietic stem-cell gene therapy for early-onset metachromatic leukodystrophy: long-term results from a non-randomised, open-label, phase 1/2 trial and expanded access. Lancet 2022; 399(10322): 372-383. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(21\)02017-1](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(21)02017-1).

11. Kehrner C, Elgün S, Raabe C et al. Association of age at onset and first symptoms with disease progression in patients with metachromatic leukodystrophy. Neurology 2020.
12. Laugwitz L, Schoenmakers DH, Adang LA et al. Newborn screening in metachromatic leukodystrophy - European consensus-based recommendations on clinical management. Eur J Paediatr Neurol 2024; 49: 141-154. <https://doi.org/10.1016/j.ejpn.2024.03.003>.
13. Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus. Informationen nach § 6 Abs. 2 KHEntgG für 2026: Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden [online]. 2026 [Zugriff: 15.07.2026]. URL: [https://www.g-drg.de/content/download/18840/file/Aufstellung%20Informationen NUB DRG 2026.pdf](https://www.g-drg.de/content/download/18840/file/Aufstellung%20Informationen%20NUB%20DRG%202026.pdf).
14. Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus. Aufstellung der Informationen nach § 6 Abs. 2 KHEntgG für 2026 [online]. 2026 [Zugriff: 15.07.2026]. URL: [https://www.g-drg.de/content/download/18973/file/Erl%C3%A4uterung%20zur%20Aufstellung%20NUB D RG 2026 aktualisiert 260630.pdf](https://www.g-drg.de/content/download/18973/file/Erl%C3%A4uterung%20zur%20Aufstellung%20NUB%20DRG%202026%20aktualisiert%20260630.pdf).
15. Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte. ICD-10-GM Version 2026 - Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme - 10. Revision - German Modification. 2026.
16. D. R. G. Research Group. DRG-Web grouper [online]. 2026. URL: https://www.drg-research-group.de/index.php?option=com_webgrouper&Itemid=112&view=webgrouper.
17. Institut für das Entgeltsystem im Krankenhaus. aG-DRG-Version 2026 und Pflegeerlöskatalog 2026 - Fallpauschalen-Katalog gem. § 17b Abs. 1 S. 4 KHG, Katalog ergänzender Zusatzentgelte gem. § 17b Abs. 1 S. 7 KHG, Pflegeerlöskatalog gem. § 17b Abs. 4 S. 5 KHG. 2026.
18. G. K. V. Spitzenverband, Verband der Privaten Krankenversicherung, Deutsche Krankenhausgesellschaft. Vereinbarung gemäß § 10 Abs. 9 KHEntgG für den Vereinbarungszeitraum 2026 vom 27.03.2026. 2026.
19. Bundesministerium der Justiz und Verbraucherschutz. Gesetz über die Entgelte für voll- und teilstationäre Krankenhausleistungen (Krankenhausentgeltgesetz - KHEntgG) § 15 Laufzeit. 2026.