Afamelanotid –
Bewertung gemäß
§ 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V

Dossierbewertung

Auftrag: G16-01
Version: 1.0
Stand: 10.05.2016
Medizinisch-fachliche Beratung:
Für die vorliegende Dossierbewertung stand keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen zur Verfügung.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiter des IQWiG¹:
- Min Zhou
- Lutz Altenhofen
- Miriam Luhnen
- Sarah Mostardt

Schlagwörter: Afamelanotid, Protoporphyrina – Erythropoetica, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords: Afamelanotide, Protoporphyrina – Erythropoietic, Health Care Costs, Epidemiology

¹ Aufgrund gesetzlicher Datenschutzbestimmungen haben Mitarbeiter das Recht, ihrer Namensnennung nicht zuzustimmen.
## Inhaltsverzeichnis

<table>
<thead>
<tr>
<th>Seite</th>
</tr>
</thead>
<tbody>
<tr>
<td>Tabellenverzeichnis</td>
</tr>
<tr>
<td>Abkürzungsverzeichnis</td>
</tr>
<tr>
<td>1 Hintergrund</td>
</tr>
<tr>
<td>1.1 Verlauf des Projekts</td>
</tr>
<tr>
<td>1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs</td>
</tr>
<tr>
<td>2 Nutzenbewertung</td>
</tr>
<tr>
<td>3 Kosten der Therapie</td>
</tr>
<tr>
<td>3.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3, Abschnitt 3.2)</td>
</tr>
<tr>
<td>3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation</td>
</tr>
<tr>
<td>3.1.2 GKV-Patienten in der Zielpopulation</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3, Abschnitt 3.3)</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2.1 Behandlungsdauer</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2.2 Verbrauch</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2.3 Kosten</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2.5 Jahrestherapiekosten</td>
</tr>
<tr>
<td>3.2.6 Versorgungsanteile</td>
</tr>
<tr>
<td>3.3 Konsequenzen für die Bewertung</td>
</tr>
<tr>
<td>4 Zusammenfassung der Dossierbewertung</td>
</tr>
<tr>
<td>4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet</td>
</tr>
<tr>
<td>4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie</td>
</tr>
<tr>
<td>4.3 Anzahl der Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen</td>
</tr>
<tr>
<td>4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung</td>
</tr>
<tr>
<td>4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung</td>
</tr>
<tr>
<td>5 Literatur</td>
</tr>
</tbody>
</table>
Tabellenverzeichnis

<table>
<thead>
<tr>
<th>Tabelle 1: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation</th>
<th>Seite</th>
</tr>
</thead>
<tbody>
<tr>
<td>--------------------------------------------------------</td>
<td>-------</td>
</tr>
<tr>
<td>Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient</td>
<td>7</td>
</tr>
<tr>
<td>------------------------------------------------------------------------------------------------------------</td>
<td>-------</td>
</tr>
<tr>
<td></td>
<td>7</td>
</tr>
</tbody>
</table>
Abkürzungsverzeichnis

<table>
<thead>
<tr>
<th>Abkürzung</th>
<th>Bedeutung</th>
</tr>
</thead>
<tbody>
<tr>
<td>EBM</td>
<td>einheitlicher Bewertungsmaßstab</td>
</tr>
<tr>
<td>EMA</td>
<td>European Medicines Agency</td>
</tr>
<tr>
<td>G-BA</td>
<td>Gemeinsamer Bundesausschuss</td>
</tr>
<tr>
<td>GKV</td>
<td>gesetzliche Krankenversicherung</td>
</tr>
<tr>
<td>IQWiG</td>
<td>Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen</td>
</tr>
<tr>
<td>pU</td>
<td>pharmazeutischer Unternehmer</td>
</tr>
<tr>
<td>SGB</td>
<td>Sozialgesetzbuch</td>
</tr>
</tbody>
</table>
1 Hintergrund

Afamelanotid wird angewendet zur Prävention von Phototoxizität bei erwachsenen Patienten mit erythropoetischer Protoporphyrie und damit ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen ist. Für diese Präparate gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 10 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) innerhalb von 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt zu werden.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers allein im Hinblick auf die Angaben

- zur Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation und
- zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung

zu bewerten.

1.1 Verlauf des Projekts

Die Verantwortung für die vorliegende Dossierbewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG.

Die Angaben im Dossier des pU wurden unter Berücksichtigung der Anforderungen bewertet, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossiervorlagen beschrieben sind (siehe Verfahrensordnung des G-BA [1]).

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird an den G-BA übermittelt und gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Weitere Informationen

zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.
2 Nutzenbewertung

3 Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation


3.1.2 GKV-Patienten in der Zielpopulation

Der pU nimmt auf Basis von Hochrechnungen der 5 Expertenzentren in Deutschland an, dass maximal 900 Patienten mit erythropoetischer Protoporphyrie in Deutschland leben. Er schätzt, dass ca. 50% dieser Patienten aufgrund von Alter, Immobilität und mangelndem Vertrauen in eine neue Behandlung, derzeit unbehandelt sind. Der pU geht weiterhin davon aus, dass alle Patienten in der GKV versichert sind. Dies ergibt eine GKV-Zielpopulation von 450 bis 900 Patienten.

Bewertung des Vorgehens des pU

Der pU belegt seine Angaben weder mit Quellen, noch stellt er die Berechnungen dar, die seinen Annahmen zugrunde liegen. Die Angabe der Fallzahl von 450 Patienten als Untergrenze ist nicht nachvollziehbar. Für die Fragestellung der vorliegenden Bewertung ist die Anzahl der Patienten relevant, die gemäß Zulassung für die Behandlung mit Afamelanotid infrage kommen.


3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

3.2.1 Behandlungsdauer


3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch sind nachvollziehbar und plausibel und entsprechen der Zulassung von Afamelanotid [2].

3.2.3 Kosten


3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen anhand der Gebührenordnung für Ärzte an, obwohl die Dossiervorlage hierfür explizit EBM-Ziffern vorsieht. Jedoch führt dieses Vorgehen vermutlich nur zu geringen Kostenunterschieden.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Die Jahrestherapiekosten für Afamelanotid weist der pU in Höhe von 65 945,94 bis 87 959,75 € aus. Diese Angaben sind insgesamt nachvollziehbar.

3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU gibt an, dass es fraglich ist, ob alle Patienten, bei denen Afamelanotid indiziert ist, tatsächlich mit Afamelanotid behandelt werden. Er macht jedoch keine Angaben zu den Versorgungsanteilen.

3.3 Konsequenzen für die Bewertung

Die Angaben des pU zur Größe der GKV-Zielpopulation sind aufgrund fehlender Quellenangaben nicht unmittelbar nachvollziehbar. Im Abgleich mit eigenen Berechnungen auf Basis der Angaben im Modul 3 A ist die Anzahl der Patienten mit erythropoetischer

Die Jahrestherapiekosten für Afamelanotid sind insgesamt nachvollziehbar.
4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet
Afamelanotid wird angewendet zur Prävention von Phototoxizität bei erwachsenen Patienten mit erythropoetischer Protoporphyrie.

4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie
Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

4.3 Anzahl der Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

<table>
<thead>
<tr>
<th>Bezeichnung der Therapie</th>
<th>Bezeichnung der Patientengruppe</th>
<th>Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation&lt;sup&gt;a&lt;/sup&gt;</th>
<th>Kommentar</th>
</tr>
</thead>
</table>

<sup>a</sup>: Angabe des pU
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer

4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung

<table>
<thead>
<tr>
<th>Bezeichnung der Therapie</th>
<th>Bezeichnung der Patientengruppe</th>
<th>Jahrestherapiekosten pro Patient in €</th>
<th>Kommentar</th>
</tr>
</thead>
<tbody>
<tr>
<td>Afamelanotid erwachsene Patienten mit erythropoetischer Protoporphyrie</td>
<td>65 945,94–87 959,75</td>
<td>Die Angaben des pU zu den Kosten sind insgesamt nachvollziehbar.</td>
<td></td>
</tr>
</tbody>
</table>

<sup>a</sup>: Angabe des pU
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer
4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Der G-BA beauftragt das IQWiG nur damit, die Anzahl der KKH-Patienten in der Zielpopulation und die Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung zu bewerten.
5 Literatur


