

IQWiG-Berichte – Nr. 672

**Velmanase alfa
(Alphamannosidose) –**

**Bewertung gemäß
§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V**

Dossierbewertung

Auftrag: G18-08
Version: 1.0
Stand: 27.09.2018

Impressum

Herausgeber:

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema:

Velmanase alfa (Alphamannosidose) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber:

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags:

29.06.2018

Interne Auftragsnummer:

G18-08

Anschrift des Herausgebers:

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Im Mediapark 8
50670 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: berichte@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Medizinisch-fachliche Beratung:

- Anibh Martin Das, Medizinische Hochschule Hannover, Pädiatrie

Das IQWiG dankt dem medizinisch-fachlichen Berater für seinen Beitrag zur Dossierbewertung. Der Berater war jedoch nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG:

- Corinna ten Thoren
- Judith Gibbert
- Anja Schwalm

Schlagwörter: Velmanase alfa, Alpha-Mannosidose, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords: Velmanase alfa, Alpha-Mannosidosis, Health Care Costs, Epidemiology

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	iv
Abkürzungsverzeichnis.....	v
1 Hintergrund.....	1
1.1 Verlauf des Projekts.....	1
1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung	3
3 Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3 A, Abschnitt 3.3).....	5
3.2.1 Behandlungsdauer	5
3.2.2 Verbrauch	5
3.2.3 Kosten.....	5
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	6
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	6
3.2.6 Versorgungsanteile	6
3.3 Konsequenzen für die Bewertung.....	6
4 Zusammenfassung der Dossierbewertung.....	7
4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet	7
4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie	7
4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen.....	7
4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung	7
4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung	7
5 Literatur	9
Anhang A – Darlegung potenzieller Interessenkonflikte (externe Sachverständige)	10

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	7
Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin beziehungsweise Patient	7

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
EBM	Einheitlicher Bewertungsmaßstab
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
NORD	National Organization for Rare Disorders (nationale Organisation für seltene Erkrankungen)
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Velmanase alfa ist ein Arzneimittel zur Behandlung der Alphamannosidose. Velmanase alfa ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für diese Präparate gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels innerhalb der Versicherten der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) binnen 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 11 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

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

zu bewerten.

1.1 Verlauf des Projekts

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

Die vorliegende Dossierbewertung wurde unter Einbindung externer Sachverständiger (eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung umfasst die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patientinnen und Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis. Darüber hinaus konnte der Berater im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen eingebunden werden. Alle Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU).

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

¹ Nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

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

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

3 Kosten der Therapie

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

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und 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

Die Erkrankung Alphamannosidose stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar. Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß dem Anwendungsgebiet der Fachinformation [2]. Demnach wird Velmanase alfa eingesetzt als Enzymersatztherapie zur Behandlung nicht neurologischer Manifestationen bei Patientinnen und Patienten mit leichter bis mittelschwerer Alphamannosidose.

3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Für das Jahr 2018 geht der pU von einer Größe der Gesamtbevölkerung in Deutschland von 81 573 000 bis 82 039 000 Personen aller Altersgruppen aus [3].

Angaben zur Prävalenz der Alphamannosidose entnimmt der pU zum einen der Orphanet Report Series von 2018 [4]. Hier wird für Europa eine Prävalenz von 0,1/100 000 Einwohner geschätzt. Zum anderen bezieht sich der pU auf eine Publikation der US-amerikanischen National Organization for Rare Disorders (NORD), in welcher sich die Prävalenzangabe 1/500 000 Einwohnern findet [5].

Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von 86,5 % bestimmt der pU somit 71 bis 142 Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation.

Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist grundsätzlich nachvollziehbar. Allerdings ist von einer Überschätzung des Umfangs der Zielpopulation in unbekannter Größenordnung auszugehen. Wie der pU selbst darstellt, bezieht sich die Schätzung zum Umfang der Zielpopulation auf eine Patientenzahl aller Schweregrade, sodass mit einer Überschätzung zu rechnen ist, da Patientinnen und Patienten mit schwerer Krankheitsausprägung eingeschlossen sind. Velmanase alfa ist aber für diese Patientinnen und Patienten nicht indiziert. Die vom pU bei der Berechnung des Umfangs der Zielpopulation zugrunde gelegten Prävalenzangaben aus der Orphanet Report Series von 2018 [4] sowie der Publikation der NORD [5] sind mit Unsicherheit versehen: Zum einen fehlen Angaben zur Prävalenz der Alphamannosidose in Deutschland. Zum anderen basieren die Angaben des Orphanet zwar auf systematischen Literaturrecherchen zur Abschätzung der Prävalenzraten seltener Krankheiten in Europa, enthalten jedoch keine Angaben über die eingeschlossenen Studien, deren Methodik sowie deren Veröffentlichungszeitraum. Die Autorinnen und Autoren von Orphanet weisen zudem insbesondere darauf

hin, dass eine Bewertung der Validität der Studiendaten nicht erfolgt. In der Publikation der NORD-Verantwortlichen findet sich zu der genannten Prävalenzangabe kein Quellenverweis.

Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Da es sich um eine autosomal-rezessiv vererbte Erkrankung handelt, geht der pU in den nächsten Jahren von stabilen Inzidenz- und Prävalenzraten aus. Basierend auf den Ergebnissen der 13. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung und unter Berücksichtigung der Berechnungsvarianten 1 bis 8 des Statistischen Bundesamtes [3] geht der pU für die Jahre 2018 bis 2023 von einer leichten Abnahme der Untergrenze der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation aus. Die Obergrenze der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation bleibt hingegen in diesem Zeitraum unverändert.

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

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

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer ergeben sich aus den Angaben in der Fachinformation [2]. Hiernach wird Velmanase alfa 1-mal wöchentlich als intravenöse Infusion verabreicht.

3.2.2 Verbrauch

Laut den Angaben in der Fachinformation [2] richtet sich der Verbrauch von Velmanase alfa nach dem Körpergewicht der Patientinnen und Patienten (1 mg/kg Körpergewicht). Da Velmanase alfa für alle Altersgruppen zugelassen ist, errechnet der pU zunächst das durchschnittliche Körpergewicht der Bevölkerung, indem er das Durchschnittsgewicht pro Altersgruppe mit dem Anteil der jeweiligen Altersgruppe an der Gesamtbevölkerung gewichtet und aufsummiert. Angaben zum durchschnittlichen Körpergewicht der jeweiligen Altersgruppen gewinnt der pU dabei aus dem Mikrozensus des Jahres 2013 [6], Angaben zum Anteil der jeweiligen Altersgruppe an der Gesamtbevölkerung aus den Angaben des Statistischen Bundesamtes des Jahres 2013 [7]. Auf diese Weise berechnet der pU 69,8 kg als Durchschnittsgewicht über alle Altersgruppen und für beide Geschlechter sodass sich ein Verbrauch von 70 mg Velmanase alfa pro wöchentlicher Infusion ergibt. Dieses Vorgehen ist nachvollziehbar. Inzwischen sind durch den Mikrozensus des Statistischen Bundesamtes des Jahres 2017 aktuellere Angaben zu Körpermaßen der deutschen Bevölkerung verfügbar [8].

3.2.3 Kosten

Die Kosten von Velmanase alfa sind mit Datum vom 01.07.2018 erstmalig in der Lauer-Taxe abrufbar. Die Angaben des pU geben diesen Stand korrekt wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU setzt auf Basis der Ziffer 02100 des Einheitlichen Bewertungsmaßstabs (EBM) der Kassenärztlichen Bundesvereinigung (KBV) mit Stand 2. Quartal 2018, und der Annahme, dass die Infusion stets ambulant vorgenommen wird, für die Leistung einer Infusion Kosten in Höhe von 6,07 € pro Gabe an.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Die vom pU berechneten Jahrestherapiekosten in Höhe von 652 665,88 € pro Patientin beziehungsweise Patient beinhalten die Arzneimittelkosten (652 350,24 €) sowie die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen (315,64 €). Diese Angaben sind plausibel.

3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU benennt Gegenanzeigen, die sich aus den Angaben in der Fachinformation [2] ergeben, wie beispielsweise schwere allergische Reaktionen. Da allerdings keine Angaben zur Häufigkeit dieser Gegenanzeigen vorliegen, wird keine anteilige Verringerung des Umfangs der Zielpopulation vorgenommen.

Weiterhin geht der pU davon aus, dass ein großer Teil der Patientinnen und Patienten der Zielpopulation mit Velmanase alfa behandelt wird, da zurzeit keine andere kurative Therapie verfügbar ist mit Ausnahme einer Stammzelltransplantation, die aufgrund des hohen Risikopotenzials nur im Einzelfall eingesetzt werde. Als Untergrenze geht der pU davon aus, dass die Anzahl der Patientinnen und Patienten, die mit Velmanase alfa behandelt werden, mindestens der Anzahl entspricht, die in Deutschland am entsprechenden Härtefallprogramm teilgenommen haben.

3.3 Konsequenzen für die Bewertung

Es ist von einer Überschätzung der Angaben zur Zielpopulation des pU auszugehen, da Patientinnen und Patienten mit schwerer Alphamannosidose in den Schätzungen der Zielpopulation enthalten sind. Für Patienten und Patienten mit einer schwergradigen Alphamannosidose ist Velmanase alfa gemäß Fachinformation [2] allerdings nicht indiziert.

Die Angaben des pU zu den Jahrestherapiekosten pro Patientin beziehungsweise Patient von Velmanase alfa sind plausibel.

4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet

Enzymersatztherapie zur Behandlung nicht neurologischer Manifestationen bei Patienten mit leichter bis mittelschwerer Alphamannosidose.

4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

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

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

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Velmanase alfa	Patientinnen und Patienten mit leichter bis mittelschwerer Alphamannosidose	71–142	Die Angaben des pU beinhalten auch Patientinnen und Patienten mit schwerer Alphamannosidose und sind deshalb überschätzt.
a: Angabe des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung

Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin beziehungsweise Patient

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Jahrestherapiekosten pro Patientin beziehungsweise Patient in €	Kommentar
Velmanase alfa	Patientinnen und Patienten mit leichter bis mittelschwerer Alphamannosidose	652 665,88 €	Die Jahrestherapiekosten beinhalten die Arzneimittelkosten (652 350,24 €) sowie die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen (315,64 €) und sind plausibel.
a: Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Der entsprechende Auftrag des G-BA an das IQWiG beschränkt sich

darauf, das Dossier des pU allein im Hinblick auf die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und zu den Kosten der Therapie für die GKV zu bewerten. Die Angaben des pU zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung bleiben daher in der vorliegenden Dossierbewertung unberücksichtigt.

5 Literatur

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

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/informationen/richtlinien/42/>.
2. Chiesi. Lamzede 10 mg Pulver zur Herstellung einer Infusionslösung: Fachinformation [online]. 03.2018 [Zugriff: 24.07.2018]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
3. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung Deutschlands bis 2060: Ergebnisse der 13. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung [online]. 28.04.2015. URL: https://www.destatis.de/DE/Publikationen/Thematisch/Bevoelkerung/VorausberechnungBevoelkerung/BevoelkerungDeutschland2060_5124202159004.pdf?__blob=publicationFile.
4. Orphanet. Prevalence and incidence of rare diseases: bibliographic data; prevalence, incidence or number of published cases listed by diseases (in alphabetical order) [online]. 06.2018 (Orphanet Report Series; Band 1). URL: http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases_by_alphabetical_list.pdf.
5. National Organization for Rare Disorders. Alpha-mannosidosis [online]. URL: <https://rarediseases.org/rare-diseases/alpha-mannosidosis/>.
6. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (Größe in m, Gewicht in kg); Gliederungsmerkmale: Jahre, Deutschland, Alter, Geschlecht [online]. 2017. URL: http://www.gbe-bund.de/oowa921-install/servlet/oowa/aw92/dboowasys921.xwdevkit/xwd_init?gbe.isgbetol/xs_start_neu/&p_aid=3&p_aid=43514200&nummer=223&p_sprache=D&p_indsp=-&p_aid=43514729.
7. Statistisches Bundesamt. Datenbankabfrage; Tabellen Code 12411-0005; Bevölkerung: Deutschland, Stichtag (31.12.2011, 31.12.2012, 31.12.2013, 31.12.2014, 31.12.2015, 31.12.2016) [online]. 2018. URL: https://www-genesis.destatis.de/genesis/online/data;jsessionid=CD402EFF9A87B65557CE23EBCC8155C4.tomcat_GO_1_2?operation=abruftabelleBearbeiten&levelindex=2&levelid=1518605154845&auswahloperation=abruftabelleAuspraegungAuswaehlen&auswahlverzeichnis=ordnungsstruktur&auswahlziel=werteabruf&selectionname=12411-0005&auswahltext=%23Z-31.12.2016%2C31.12.2015%2C31.12.2014%2C31.12.2013%2C31.12.2012%2C31.12.2011&werteabruf=Werteabruf.
8. Statistisches Bundesamt. Mikrozensus: Fragen zur Gesundheit; Körpermaße der Bevölkerung; 2017 [online]. 02.08.2018 [Zugriff: 03.09.2018]. URL: https://www.destatis.de/DE/Publikationen/Thematisch/Gesundheit/Gesundheitszustand/Koerpermasse5239003179004.pdf?__blob=publicationFile.

Anhang A – Darlegung potenzieller Interessenkonflikte (externe Sachverständige)

Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung externer Sachverständiger (einer medizinisch-fachlichen Beraterin / eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Berater/-innen, die wissenschaftliche Forschungsaufträge für das Institut bearbeiten, haben gemäß § 139b Abs.3 Satz 2 SGB V „alle Beziehungen zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, insbesondere der pharmazeutischen Industrie und der Medizinprodukteindustrie, einschließlich Art und Höhe von Zuwendungen“ offenzulegen. Das Institut hat von der Beraterin / dem Berater ein ausgefülltes Formular „Offenlegung potenzieller Interessenkonflikte“ erhalten. Die Angaben wurden durch das speziell für die Beurteilung der Interessenkonflikte eingerichtete Gremium des Instituts bewertet. Es wurden keine Interessenkonflikte festgestellt, die die fachliche Unabhängigkeit im Hinblick auf eine Bearbeitung des vorliegenden Auftrags gefährden. Im Folgenden sind die Angaben zu Beziehungen zusammengefasst. Alle Informationen beruhen auf Selbstangaben der einzelnen Personen anhand des „Formblatts zur Offenlegung potenzieller Interessenkonflikte – Version „frühe Nutzenbewertung“. Das Formblatt ist unter www.iqwig.de abrufbar. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2 / Ergänzende Frage	Frage 3 / Ergänzende Frage	Frage 4 / Ergänzende Frage	Frage 5	Frage 6	Frage 7
Das, Anibh Martin	ja	ja / nein	ja / nein	ja / nein	ja	nein	ja

Im „Formblatt zur Offenlegung potenzieller Interessenkonflikte – Version ‚frühe Nutzenbewertung‘“ wurden folgende Fragen gestellt:

Frage 1: Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor bei einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere bei einem pharmazeutischen Unternehmen, Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband angestellt, für diese selbständig oder ehrenamtlich tätig bzw. sind oder waren Sie freiberuflich in eigener Praxis tätig? (Zu den oben genannten Einrichtungen zählen beispielsweise auch Kliniken, Einrichtungen der Selbstverwaltung, Fachgesellschaften, Auftragsinstitute)

Frage 2: Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor ein Unternehmen, eine Institution oder einen Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Hersteller von Medizinprodukten oder einen industriellen Interessenverband direkt oder indirekt beraten (z. B. als Gutachter, Sachverständiger, Mitglied eines Advisory Boards, Mitglied eines Data Safety Monitoring Boards (DSMB) oder Steering Committees)?

Ergänzende Frage zu Frage 2: Haben Sie das von der Nutzenbewertung betroffene Unternehmen jemals im Zusammenhang mit der präklinischen oder klinischen Entwicklung des zu bewertenden Arzneimittels direkt oder indirekt beraten?

Frage 3: Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband Honorare erhalten (z. B. für Vorträge, Schulungstätigkeiten, Stellungnahmen oder Artikel)?

Ergänzende Frage zu Frage 3: Haben Sie von dem von der Nutzenbewertung betroffenen Unternehmen jemals im Zusammenhang mit der präklinischen oder klinischen Entwicklung des zu bewertenden Produkts Honorare erhalten für Vorträge, Stellungnahmen oder Artikel?

Frage 4: Haben Sie oder haben die von Ihnen unter Frage 1 genannten Einrichtungen innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband finanzielle Unterstützung z. B. für Forschungsaktivitäten, die Durchführung klinischer Studien, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen erhalten? (Sofern Sie in einer ausgedehnten Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, zum Beispiel Klinikabteilung, Forschungsgruppe etc.)

Ergänzende Frage zu Frage 4: Haben Sie persönlich abseits einer Anstellung oder Beratungstätigkeit jemals von dem von der Nutzenbewertung betroffenen Unternehmen im Zusammenhang mit der präklinischen oder klinischen Entwicklung des zu bewertenden

Produkts finanzielle Unterstützung für Forschungsaktivitäten, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen erhalten?

Frage 5: Haben Sie oder haben die von Ihnen unter Frage 1 genannten Einrichtungen innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen (z. B. Ausrüstung, Personal, Unterstützung bei der Ausrichtung einer Veranstaltung, Übernahme von Reisekosten oder Teilnahmegebühren für Fortbildungen / Kongresse) erhalten von einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere von einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband? (Sofern Sie in einer ausgedehnten Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, zum Beispiel Klinikabteilung, Forschungsgruppe etc.)

Frage 6: Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile eines Unternehmens oder einer anderweitigen Institution im Gesundheitswesen, insbesondere von einem pharmazeutischen Unternehmen oder einem Hersteller von Medizinprodukten? Besitzen Sie Anteile eines „Branchenfonds“, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Hersteller von Medizinprodukten ausgerichtet ist? Besitzen Sie Patente für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt oder eine medizinische Methode oder Gebrauchsmuster für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt?

Frage 7: Sind oder waren Sie jemals an der Erstellung einer Leitlinie oder Studie beteiligt, die eine mit diesem Projekt vergleichbare Thematik behandelt/e? Gibt es sonstige Umstände, die aus Sicht eines unvoreingenommenen Betrachters als Interessenkonflikt bewertet werden können (z. B. Aktivitäten in gesundheitsbezogenen Interessengruppierungen bzw. Selbsthilfegruppen, politische, akademische, wissenschaftliche oder persönliche Interessen)?