



IQWiG-Berichte – Nr. 985

Luspatercept (Beta-Thalassämie) –

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

Dossierbewertung

Auftrag: G20-15
Version: 1.0
Stand: 28.10.2020

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Luspatercept (Beta-Thalassämie) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

30.07.2020

Interne Auftragsnummer

G20-15

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

Für die vorliegende Dossierbewertung stand keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen zur Verfügung.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Carolin Weigel
- Dominik Schierbaum
- Anja Schwalm
- Corinna ten Thoren

Schlagwörter: Luspatercept, Beta-Thalassämie, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords: Luspatercept, Beta-Thalassemia, 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 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie 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 GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3) | 6 |
| 3.2.1 Behandlungsdauer | 6 |
| 3.2.2 Verbrauch | 7 |
| 3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels | 7 |
| 3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen..... | 7 |
| 3.2.5 Jahrestherapiekosten..... | 7 |
| 3.2.6 Versorgungsanteile | 8 |
| 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung | 9 |
| 4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete | 9 |
| 4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie | 9 |
| 4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen | 9 |
| 4.4 Kosten der Therapie für die GKV | 10 |
| 4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung | 10 |
| 5 Literatur | 11 |

Tabellenverzeichnis

| | Seite |
|--|--------------|
| Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der erwachsenen Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation..... | 4 |
| Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation..... | 9 |
| Tabelle 3: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin bzw. Patient | 10 |

Abkürzungsverzeichnis

| Abkürzung | Bedeutung |
|------------------|---|
| AM-NutzenV | Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung |
| ATC | Anatomisch-Therapeutisch-Chemisches Klassifikationssystem |
| G-BA | Gemeinsamer Bundesausschuss |
| GKV | gesetzliche Krankenversicherung |
| InGef | Instituts für angewandte Gesundheitsforschung Berlin |
| ICD-10 | Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision |
| IQWiG | Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen |
| KI | Konfidenzintervall |
| OPS | Operationen- und Prozedurenschlüssel |
| pU | pharmazeutischer Unternehmer |
| PZN | Pharmazentralnummer |
| SGB | Sozialgesetzbuch |

1 Hintergrund

Luspatercept ist ein Arzneimittel zur Behandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist. Luspatercept ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs 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 gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) binnen 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen gegenüber der 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 Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG.

Aufgrund der Arbeitsbedingungen während der Corona-Pandemie erfolgte die vorliegende Bewertung ohne Verwendung streng vertraulicher Daten in Modul 5 des Dossiers des pU.

Für die vorliegende Bewertung war die Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) vorgesehen. Allerdings konnten keine externen Sachverständigen, die die notwendigen Voraussetzungen (fachlich-klinische und -wissenschaftliche Expertise, keine gravierenden Interessenkonflikte, kurzfristige zeitliche Verfügbarkeit) erfüllen, über die vorgesehenen Prozesse identifiziert werden.

Bei der Kommentierung der Angaben im Dossier des pU werden die Anforderungen berücksichtigt, 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 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. 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.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

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. Aus diesem Grund ist die Bewertung des Zusatznutzens nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie 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

Der pU stellt der Erkrankung der Beta-Thalassämie nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation. Demnach wird Luspatercept im vorliegenden Anwendungsgebiet zur Behandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist, angewendet [2].

3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

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 Tabelle 1 dargestellt und im Anschluss näher erläutert.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der erwachsenen Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

| Schritt | Vorgehen des pU | Anteil [%] | Patientenzahl in der Stichprobe | Hochrechnung der Patientenzahl auf die Gesamtbevölkerung in Deutschland [95 %-KI] |
|---------|--|------------|---------------------------------|---|
| | Stichprobe der Datenbank des InGef | – | 3 315 614 | – |
| 1 | Diagnose Beta-Thalassämie ICD-10-Code D56.1 | – | 573 | 11 982 [11 025; 13 008] |
| 2 | transfusionsabhängige Beta-Thalassämie | | | |
| 2a | regelmäßiger Transfusionsbedarf | 2,62 | 15 | 314 [289; 341] |
| 2b | regelmäßiger Transfusionsbedarf + Eisenchelattherapie | 1,75 | 10 | 210 [193 ; 228] |
| 3 | Hochrechnung | | | |
| 3a | Bildung einer Spanne aus den Patientenzahlen aus Schritt 2a und 2b | – | – | 193–341 |
| 3b | Hochrechnung auf die GKV-Zielpopulation | 88,4 | – | 171–301 |

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; ICD: Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision; KI: Konfidenzintervall; pU: pharmazeutischer Unternehmer

Ausgangsbasis: Stichprobe der Datenbank des InGef

Der pU gibt an, dass bisher in Deutschland nur wenig epidemiologische Daten mit zumeist eingeschränkter Validität vorliegen. Daher ermittelt er die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation auf Basis einer vom pU beauftragten

Routinedatenanalyse des Instituts für angewandte Gesundheitsforschung Berlin (InGef) [3]. Die Datenbank des InGef enthält laut pU anonymisierte Routinedaten von ca. 8 Millionen Versicherten verschiedener deutscher Krankenkassen – vorwiegend Betriebs- und Innungskrankenkassen. Aus dieser Datenbank wurde nach Angabe des pU eine nach Alters- und Geschlechtsangaben in Bezug zur deutschen Bevölkerung repräsentative Stichprobe aus erwachsenen Versicherten (N = 3 315 614) gezogen, die im Jahr 2018 durchgängig (bzw. bis zum Tod im Jahr 2018) versichert waren.

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit Diagnose Beta-Thalassämie

Laut pU wurde die Stichprobe anhand des Diagnosecodes D56.1 gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision (ICD-10) auf Patientinnen und Patienten eingegrenzt, die im Auswertungsjahr 2018 mindestens 1-malig die Diagnose Beta-Thalassämie aufwiesen. Das Kriterium trifft auf 573 Patientinnen und Patienten in der Stichprobe zu. Mithilfe dieser Angabe ermittelt der pU eine 1-Jahresprävalenz für Beta-Thalassämie von 17,28 pro 100 000 Einwohner (95 %-Konfidenzintervall (KI): [15,90; 18,76]).

Diese Angabe rechnet der pU auf Basis der Anzahl der Erwachsenen in der deutschen Wohnbevölkerung in Höhe von 69 338 003 für das Jahr 2018 auf die deutsche Gesamtbevölkerung hoch [4]. Zusätzlich ermittelt der pU einen Unsicherheitsbereich mithilfe des 95 %-KI nach Clopper und Pearson.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie

Entsprechend des Anwendungsgebiets wird der Datensatz weiter eingegrenzt auf Patientinnen und Patienten mit einer transfusionsabhängigen Beta-Thalassämie. Dies wird laut pU in der Routinedatenanalyse mithilfe der folgenden Kriterien operationalisiert:

- mindestens 6 Erythrozytenkonzentrattransfusionen innerhalb von 24 Wochen
- zusätzlich mindestens 1 Verordnung einer Eisenchelatherapie

Die Erythrozytenkonzentrattransfusionen wurde nach Angabe des pU in der Routinedatenanalyse anhand der Operationen- und Prozedurenschlüssel (OPS)-Codes OPS 8-800.c „Erythrozytenkonzentrat“ beziehungsweise der Sonder-Pharmazentralnummer (PZN) 02567484 „Erythrozytenkonzentrate ohne PZN“ operationalisiert.

Die Verordnungen für eine Eisenchelatherapie wurden nach Aussage des pU für folgende in Deutschland zugelassene Wirkstoffe erfasst: Deferoxamin, Deferipron und Deferasirox.

Der pU gibt für diesen Schritt 10 bis 15 (1,75 % bis 2,62 %) Patientinnen und Patienten in der Stichprobe an. Diese Anteilswerte wurden jeweils auf das Ergebnis der Hochrechnung auf die Gesamtbevölkerung in Deutschland aus dem vorherigen Schritt übertragen (inklusive eines Unsicherheitsbereichs bezogen auf das 95 %-KI).

Schritt 3: Hochrechnung

Aus den beiden Konfidenzintervallen aus Schritt 2 ermittelt der pU eine Spanne von insgesamt 193 bis 341 Patientinnen und Patienten. Der untere Wert der Spanne bezieht sich auf die untere Grenze des Konfidenzintervalls für Patientinnen und Patienten mit Bluttransfusionen und zusätzlich einer Verordnung für eine Eisenchelattherapie. Der obere Wert der Spanne bezieht sich auf die obere Grenze des Konfidenzintervalls für Patientinnen und Patienten mit Bluttransfusionen unabhängig von einem Nachweis einer Verordnung für eine Eisenchelattherapie.

Aus dieser Spanne ermittelt der pU die Anzahl der erwachsenen Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation anhand eines Anteils von 88,4 % für Versicherte in der GKV [4,5].

Der pU gibt eine Anzahl von 171 bis 301 erwachsenen Patientinnen und Patienten mit einer transfusionsabhängigen Beta-Thalassämie in der GKV-Zielpopulation an.

Bewertung des Vorgehens des pU

Ausgangspunkt für die Bewertung stellen ausschließlich die Informationen aus Modul 3 A des Dossiers sowie öffentlich zugängliche Quellen dar.

Das Vorgehen des pU kann auf Basis der der Angaben in Modul 3 A weitgehend nachvollzogen werden. Die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist auf dieser Grundlage plausibel.

Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU geht davon aus, dass die Inzidenz und Prävalenz der Beta-Thalassämie in den nächsten 5 Jahren konstant bleiben, weist jedoch auch auf Unsicherheiten hinsichtlich der migrationsbedingten Bevölkerungsentwicklung hin.

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

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

3.2.1 Behandlungsdauer

Der pU geht für Luspatercept – in Übereinstimmung mit der Fachinformation [2] – von einer kontinuierlichen Behandlung aus.

Laut pU wird Luspatercept 1-mal alle 3 Wochen als subkutane Injektion verabreicht. Der pU rundet für seine Berechnungen auf 17 Behandlungstage pro Jahr ab.

Der Fachinformation [2] ist zu entnehmen, dass in Abhängigkeit vom Hämoglobinwert ggf. längere behandlungsfreie Intervalle zwischen den Behandlungen empfohlen werden, wodurch eine geringere Anzahl an Behandlungen pro Jahr möglich ist.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch pro Gabe entsprechen der Spanne aus minimaler und maximaler Erhaltungsdosis gemäß Fachinformation (0,8 mg/kg bis 1,25 mg/kg) für die Behandlung von Erwachsenen mit einer Beta-Thalassämie [2].

Der Verbrauch von Luspatercept richtet sich nach dem Körpergewicht [2]. Für seine Berechnungen legt der pU das durchschnittliche Körpergewicht für Erwachsene gemäß den aktuellen Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2017 in Höhe von 77 kg zugrunde [6].

Ergänzend stellt der pU die Angaben für ein Körpergewicht von 58 kg dar, was laut pU dem durchschnittlichen Körpergewicht der Teilnehmenden der Phase-III-Studie BELIEVE entspricht. Diese Angaben werden im Folgenden nicht für die Bewertung herangezogen.

Der vom pU angegebene Jahresverbrauch ist unter der Annahme einer kontinuierlichen Behandlung im Umfang von 17-mal pro Jahr (siehe Abschnitt 3.2.1) plausibel.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Luspatercept geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.08.2020, der erstmaligen Listung, wieder.

Der pU weist darauf hin, dass zum Zeitpunkt der Markteinführung ein verringerter Mehrwertsteuersatz in Höhe von 16 % gültig ist [7]. Zusätzlich macht der pU Angaben zu den Kosten von Luspatercept unter Berücksichtigung eines Mehrwertsteuersatzes in Höhe von 19 %, welche im Folgenden für die Bewertung herangezogen werden.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt an, dass keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen anfallen, da es sich bei Luspatercept um ein Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V handelt und daher kein Abgleich mit einer zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgenommen wird.

Es ist zu beachten, dass gemäß Fachinformation [2] vor jeder Anwendung von Luspatercept der Hämoglobinspiegel bestimmt werden muss.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Luspatercept unter Berücksichtigung eines Mehrwertsteuersatzes in Höhe von 19 % Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 88 059,83 € bis 118 043,41 €

Die angegebenen Jahrestherapiekosten beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten. Diese sind unter Berücksichtigung der vom pU angenommenen Anzahl an Behandlungen (siehe Abschnitt 3.2.1) plausibel. Bei längeren behandlungsfreien Intervallen zwischen den

Behandlungen können geringere Arzneimittelkosten entstehen. Bei Berechnung auf Grundlage von 365 Tagen pro Jahr (17,4 Behandlungstage pro Jahr) ergeben sich hingegen höhere Arzneimittelkosten pro Jahr.

Es ist zu beachten, dass zusätzlich Kosten für die wiederholte Bestimmung des Hämoglobinspiegels anfallen.

3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU erläutert, dass quantitative Aussagen zu den Versorgungsanteilen von Luspatercept schwierig seien. Ferner gibt der pU an, dass aufgrund von Kontraindikationen, Therapieabbruchraten oder Patientenpräferenzen keine relevanten Auswirkungen auf die Versorgungsanteile erwartet werden.

Laut pU ist davon auszugehen, dass Luspatercept überwiegend im ambulanten Bereich angewendet wird.

4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Luspatercept ist für mehrere Anwendungsgebiete zugelassen. Die vorliegende Bewertung bezieht sich ausschließlich auf folgendes Anwendungsgebiet:

Luspatercept wird angewendet für die Behandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist.

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 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

| Bezeichnung der Therapie | Bezeichnung der Patientengruppe | Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a | Kommentar |
|--------------------------|---|--|---|
| Luspatercept | erwachsene Patientinnen und Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist | 171–301 | Das Vorgehen des pU kann anhand der Angaben in Modul 3 A weitgehend nachvollzogen werden. Die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist auf dieser Grundlage plausibel. |

a. Angabe des pU
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer

4.4 Kosten der Therapie für die GKV

Tabelle 3: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin bzw. Patient

| Bezeichnung der Therapie | Bezeichnung der Patientengruppe | Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in € | Kommentar |
|--|---|--|---|
| Luspatercept | erwachsene Patientinnen und Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie, die mit einer Beta-Thalassämie verbunden ist | 88 059,83–118 043,41 | Die Arzneimittelkosten sind für die vom pU angenommene Anzahl an Behandlungen pro Jahr (siehe Abschnitt 3.2.1) plausibel. Bei längeren Intervallen zwischen den Behandlungen können geringere Arzneimittelkosten entstehen. Bei Berechnung auf Grundlage von 365 Tagen (entspricht 17,4 Behandlungstagen) pro Jahr ergeben sich hingegen höhere Arzneimittelkosten pro Jahr. Zusätzlich fallen Kosten für die wiederholte Bestimmung des Hämoglobinspiegels an. |
| a. Angabe des pU. Die Angaben beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten. Dargestellt werden lediglich die Angaben unter Berücksichtigung eines Mehrwertsteuersatzes in Höhe von 19 % sowie für ein durchschnittliches Körpergewicht für Erwachsene in Höhe von 77 kg [6]. 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 ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/richtlinien/42/>.
2. Celgene. Reblozyl 25 mg/75 mg Pulver zur Herstellung einer Injektionslösung. 2020.
3. Institut für angewandte Gesundheitsforschung Berlin. Studienbericht Epidemiologie und Charakteristika von Patienten mit Beta-Thalassämie in Deutschland. 2020.
4. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Bevölkerung im Jahresdurchschnitt. Gliederungsmerkmale: Jahre, Region, Alter, Geschlecht, Nationalität (Grundlage Zensus 2011) [online]. [Zugriff: 23.03.2020]. URL: <http://www.gbe-bund.de>.
5. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Mitglieder und mitversicherte Familienangehörige der gesetzlichen Krankenversicherung am 1.7. eines Jahres (Anzahl) [online]. [Zugriff: 27.03.2020]. URL: <http://www.gbe-bund.de>.
6. Statistisches Bundesamt. Mikrozensus: Fragen zur Gesundheit; Körpermaße der Bevölkerung; 2017 [online]. 02.08.2018 [Zugriff: 27.09.2019]. URL: https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Publikationen/Downloads-Gesundheitszustand/koerpermasse-5239003179004.pdf?__blob=publicationFile&v=4.
7. Zweites Gesetz zur Umsetzung steuerlicher Hilfsmaßnahmen zur Bewältigung der Corona-Krise (Zweites Corona-Steuerhilfegesetz). Bundesgesetzblatt Teil I 2020; (31): 1512-1516.