



IQWiG-Berichte – Nr. 1376

**Pegcetacoplan
(paroxysmale nächtliche
Hämoglobinurie) –**

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

Dossierbewertung

Auftrag: G22-07
Version: 1.0
Stand: 28.06.2022

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Pegcetacoplan (paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

29.03.2022

Interne Auftragsnummer

G22-07

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

Die vorliegende Bewertung erfolgte ohne die Einbindung einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Sonja Schiller
- Stefan Kobza
- Christiane Balg
- Sarah Mostardt

Schlagwörter

Pegcetacoplan, Hämoglobinurie – Paroxysmale, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Pegcetacoplan, Hemoglobinuria – Paroxysmal, Health Care Costs, Epidemiology

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	iv
Abbildungsverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis	vi
1 Hintergrund	1
1.1 Verlauf des Projekts	1
1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	1
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)	8
3.2.1 Behandlungsdauer	9
3.2.2 Verbrauch	9
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	9
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	9
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	9
3.2.6 Versorgungsanteile	10
4 Zusammenfassung der Dossierbewertung	11
4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete	11
4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie	11
4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	11
4.4 Kosten der Therapie für die GKV	12
4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung	13
5 Literatur	14

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	11
Tabelle 2: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	12

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	5

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
ATC-Code	Anatomisch-therapeutisch-chemischer Code
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD-10-GM	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10, German Modification (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation)
InGef	Institut für angewandte Gesundheitsforschung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
OPS	Operationen- und Prozedurenschlüssel
PNH	paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie
PZN	Pharmazentralnummer
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Pegcetacoplan ist ein Arzneimittel zur Behandlung der paroxysmalen nächtlichen Hämoglobinurie (PNH). Pegcetacoplan 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.

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]).

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

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

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)

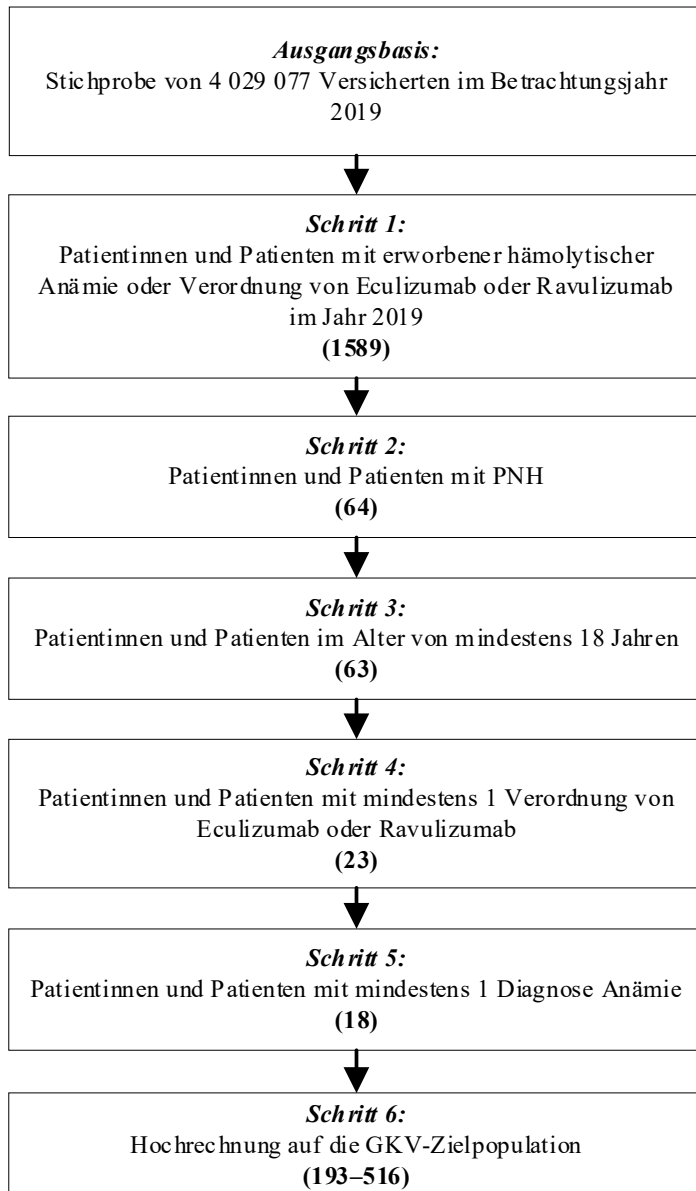
Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Der pU stellt die PNH nachvollziehbar und plausibel dar. Die Zielpopulation definiert er korrekt gemäß der Fachinformation [2]. Demnach wird Pegcetacoplan angewendet bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit PNH, die nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor (Eculizumab bzw. Ravulizumab) für mindestens 3 Monate nach wie vor anämisch sind.

3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Der pU leitet die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte her. In Abbildung 1 wird das Vorgehen des pU zusammengefasst und nachfolgend beschrieben.



Angabe der Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Klammern
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; PNH: paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie

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

Datengrundlage: GKV-Routinedatenanalyse

Datengrundlage für die in der Folge beschriebene Ermittlung der Patientenzahlen ist eine GKV-Routinedatenanalyse basierend auf der Forschungsdatenbank des Instituts für angewandte Gesundheitsforschung (InGef). Die Forschungsdatenbank enthält laut pU Abrechnungsdaten von etwa 60 gesetzlichen Krankenkassen.

Ausgangsbasis

Herangezogen wurde eine nach Angaben des pU bezüglich Alter und Geschlecht repräsentative Stichprobe von 4 029 077 Versicherten, die im Betrachtungsjahr 2019 durchgehend beobachtbar waren [3].

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit erworbener hämolytischer Anämie oder Verordnung von Eculizumab oder Ravulizumab im Jahr 2019

Aus der Stichprobe greift der pU alle Versicherten auf, die im Beobachtungsjahr 2019

- mindestens 1 gesicherte Diagnose gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation (ICD-10-GM) D59.- (Erworbene hämolytische Anämien) im ambulanten Bereich oder als stationäre primäre oder sekundäre Entlassungsdiagnose aufwiesen oder
- mindestens 1 dokumentierte Verordnung von Eculizumab (Anatomisch-therapeutisch-chemischer[ATC]-Code L04AA25, Pharmazentralnummer[PZN] 04617364 oder Operationen-und-Prozedurenschlüssel[OPS]-Code 6-003.h) oder Ravulizumab (PZN 15246480) im ambulanten bzw. stationären Bereich erhalten haben.

Über diese Aufgreifkriterien wurde in der Stichprobe eine Anzahl von 1589 Patientinnen und Patienten im Jahr 2019 ermittelt [3].

Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit PNH

In Schritt 2 wurden diejenigen Patientinnen und Patienten ausgewählt, die mindestens 1 der folgenden Kriterien im Beobachtungsjahr 2019 erfüllten:

- mindestens 1 gesicherte Diagnose D59.5 (PNH [Marchiafava-Micheli]) gemäß ICD-10-GM im ambulanten Bereich oder als stationäre primäre oder sekundäre Entlassungsdiagnose
- mindestens 1 dokumentierte Verordnung von Eculizumab oder Ravulizumab (siehe Schritt 1) im ambulanten bzw. stationären Bereich, wobei Patientinnen und Patienten mit einer Diagnose
 - D59.3 (Hämolytisch-urämisches Syndrom),
 - G36.0 (Neuromyelitis optica [Devic-Krankheit]) oder
 - G70.0 (Myasthenia gravis)gemäß ICD-10-GM im selben Quartal ausgeschlossen wurden, da Eculizumab auch für diese Erkrankungen zugelassen sind [4], die betroffenen Patientinnen und Patienten jedoch nicht zur Zielpopulation von Pegcetacoplan zählen.

In der Stichprobe wurde für Schritt 2 somit eine Anzahl von 64 Patientinnen und Patienten im Jahr 2019 ermittelt [3].

Schritt 3: Patientinnen und Patienten im Alter von mindestens 18 Jahren

In diesem Schritt wurde eine Anzahl von 63 Patientinnen und Patienten im Alter von mindestens 18 Jahren in der Stichprobe ermittelt [3].

Schritt 4: Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 Verordnung von Eculizumab oder Ravulizumab

In Schritt 4 wurde eine Anzahl von 23 Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 Verordnung von Eculizumab oder Ravulizumab im Beobachtungsjahr 2019 (siehe 2. Aufzählungspunkt von Schritt 1) in der Stichprobe ausgewiesen [3].

Schritt 5: Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 Diagnose Anämie

In diesem Schritt wurde eine Anzahl von 18 Patientinnen und Patienten in der Stichprobe ermittelt, bei denen im Beobachtungsjahr 2019 mindestens in einem Fall die Diagnose einer Anämie entsprechend der folgenden ICD-10-GM-Codes aufgetreten ist:

- D50.- (Eisenmangelanämie),
- D51.- (Vitamin-B12-Mangelanämie),
- D52.- (Folsäure-Mangelanämie),
- D53.- (Sonstige alimentäre Anämien),
- D55.- (Anämie durch Enzymdefekte),
- D58.- (Sonstige hereditäre hämolytische Anämien),
- D59.0 (Arzneimittelinduzierte autoimmunhämolytische Anämie),
- D59.1 (Sonstige autoimmunhämolytische Anämien),
- D59.2 (Arzneimittelinduzierte nicht autoimmunhämolytische Anämie),
- D59.4 (Sonstige nicht autoimmunhämolytische Anämien),
- D59.8 (Sonstige erworbene hämolytische Anämien),
- D63.- (Anämie bei chronischen, anderenorts klassifizierten Krankheiten) und
- D64.- (Sonstige Anämien) [3].

Schritt 6: Hochrechnung auf die GKV-Zielpopulation

Der pU rechnet zunächst das Ergebnis aus Schritt 5 hoch auf die Gesamtbevölkerung Deutschlands im Jahr 2019 (Schätzung: 83 166 711 Personen [5]). Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von 87,84 % [5] und einem 95 %-Konfidenzintervall nach Clopper und Pearson ermittelt der pU anschließend eine Anzahl von 193 bis 516 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch nachvollziehbar. Bestehende Unsicherheiten werden im Folgenden aufgeführt.

Der pU begründet nicht ausreichend, wie die Auswahl der ICD-Codes zur Operationalisierung einer für mindestens 3 Monate nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor nach wie vor bestehenden Anämie getroffen wurde. Es stellt sich dabei generell die Frage, ob und ggf. welche ICD-Codes für eine Anämie, die mit der Grunderkrankung PNH einhergehen, herangezogen werden können (neben dem für die Erkrankung spezifischen ICD-Code D59.5). Dies führt zur Unsicherheit der ermittelten Patientenzahl. Jedoch ist im Abgleich mit den Empfehlungen der Fachgesellschaft zur Diagnostik und Therapie hämatologischer und onkologischer Erkrankungen [6] mit einer Angabe von über 60 % der Patientinnen und Patienten mit PNH mit einer fortbestehenden Anämie unter Behandlung mit C5-Inhibitoren bei den vorliegenden Routinedaten nicht von einer Untererfassung auszugehen. In den Routinedaten wird von einem Anteil von 78 % der Patientinnen und Patienten mit PNH mit einer fortbestehenden Anämie unter Behandlung mit C5-Inhibitoren ausgegangen ($18/23 = 78\%$, siehe Schritt 4 und 5).

Bei den Aufgreifkriterien in Schritt 4 (mindestens 1 Verordnung von Eculizumab oder Ravulizumab) und Schritt 5 (mindestens 1 Diagnose Anämie) wurde nicht explizit der laut Anwendungsgebiet geforderte Mindestabstand von 3 Monaten nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor berücksichtigt. Damit könnten folgende Patientengruppen aufgegriffen worden sein, die nicht für das Anwendungsgebiet infrage kommen:

- Patientinnen und Patienten mit einer Anämie und nachfolgender Behandlung mit Eculizumab oder Ravulizumab, die anschließend nicht mehr anämisch waren
- Patientinnen und Patienten mit einer Anämie innerhalb von weniger als 3 Monaten nach Behandlungsbeginn oder ggf. nach einem Behandlungsabbruch

In der Gesamtschau kann aufgrund der aufgeführten Punkte von einer tendenziellen Überschätzung ausgegangen werden.

Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Für die Prävalenz und Inzidenz geht der pU auf Basis von Daten für die Jahre 2016 bis 2019 in der GKV-Routinedatenanalyse von steigenden Zahlen der Patientinnen und Patienten mit PNH für die nächsten 5 Jahre in Deutschland aus. Er extrapoliert die Prävalenz und Inzidenz für Deutschland mittels linearer Regression bis zum Jahr 2026.

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

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Pegcetacoplan entsprechen weitgehend der Fachinformation [2]. Der pU geht von einer kontinuierlichen Behandlung aus. Dies ist plausibel.

Dabei ist Folgendes zu beachten: Der pU geht von einer ganzen Anzahl von 52 Kalenderwochen pro Jahr aus und berechnet daraus die Anzahl der Behandlungstage pro Jahr. Bei Berechnung der Anzahl der Kalenderwochen auf 1 Nachkommastelle gerundet und auf Grundlage von 365 Tagen pro Jahr ergibt sich eine entsprechend geringfügig höhere Anzahl an Behandlungen (104,2 statt 104) pro Jahr.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch je Behandlung entsprechen der Fachinformation [2].

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Pegcetacoplan geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.04.2022, der erstmaligen Listung, wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt korrekt an, dass Pegcetacoplan nur mithilfe einer Spritzeninfusionspumpe verabreicht werden darf [2]. Dem pU zufolge sind die Kosten dafür wegen des vielfältigen Angebotes an Spritzeninfusionspumpen und der regional unterschiedlichen Vereinbarungen bezüglich Hilfsmittellieferverträgen nicht bezifferbar.

Der pU diskutiert zusätzlich Impfungen vor Behandlungsbeginn, deren Kosten ihm zufolge nicht quantifizierbar sind. Gemäß Fachinformation [2] stellen die vom pU adressierten Impfungen keine für alle Patientinnen und Patienten zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen dar.

Außerdem sollten Patientinnen und Patienten laut Fachinformation [2] regelmäßig auf Anzeichen und Symptome einer Hämolyse überwacht werden, u. a. durch Messung des Laktatdehydrogenasespiegels. Dem pU zufolge sind die entstehenden Kosten nicht zu quantifizieren, da die Untersuchungen zwar regelmäßig durchgeführt werden, aber kein festes Schema besteht. Dies ist nachvollziehbar.

Der pU veranschlagt korrekt keine Kosten gemäß Hilfstaxe.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Für Pegcetacoplan ermittelt der pU Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 424 994,05 €. Diese Angabe besteht ausschließlich aus Arzneimittelkosten.

Wird für Pegcetacoplan eine höhere Anzahl an Behandlungstagen (siehe Abschnitt 3.2.1) veranschlagt, so ergeben sich etwas höhere Arzneimittelkosten als vom pU angegeben.

Es entstehen vom pU nicht veranschlagte Kosten für die Verabreichung von Pegcetacoplan mithilfe einer Spritzeninfusionspumpe und für die Überwachung auf Anzeichen und Symptome einer Hämolyse.

Der pU veranschlagt korrekt keine Kosten gemäß Hilfstaxe.

3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU geht davon aus, dass aufgrund der eingeschränkten Therapiemöglichkeiten und der weiterhin bestehenden Symptomatik unter C5-Inhibitoren ein hoher Anteil der Patientinnen und Patienten mit PNH mit Pegcetacoplan behandelt werden wird. Er führt korrekt die Kontraindikationen gemäß der Fachinformation [2] auf, wobei dem pU zufolge nicht eingeschätzt werden kann, wie diese sich auf die Größe der Zielpopulation auswirken. Auch geht der pU davon aus, dass Therapieabbruchraten keinen nennenswerten Einfluss auf den Versorgungskontext im vorliegenden Anwendungsgebiet haben. Laut pU erfolgt die Versorgung vornehmlich ambulant, da Pegcetacoplan durch die Patientin bzw. den Patienten nach Einweisung durch ein qualifiziertes medizinisches Fachpersonal selbst verabreicht werden kann [2].

4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Pegcetacoplan wird angewendet für die Behandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit PNH, die nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor für mindestens 3 Monate nach wie vor anämisch sind.

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
Pegcetacoplan	erwachsene Patientinnen und Patienten mit PNH, die nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor für mindestens 3 Monate nach wie vor anämisch sind	193–516	Insgesamt kann von einer tendenziellen Überschätzung ausgegangen werden, da bei der Ermittlung der Patientenzahl das laut Anwendungsgebiet geforderte Kriterium eines Mindestabstands, für Patientinnen und Patienten, die nach wie vor anämisch sind, von 3 Monaten nach Beginn einer Behandlung mit einem C5-Inhibitor nicht ausreichend berücksichtigt wurde.
<p>a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; PNH: paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>			

4.4 Kosten der Therapie für die GKV

Tabelle 2: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel 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	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Pegcetacoplan	erwachsene Patientinnen und Patienten mit PNH, die nach Behandlung mit einem C5-Inhibitor für mindestens 3 Monate nach wie vor anämisch sind	424 994,05	0 ^b	0	424 994,05	Wird für Pegcetacoplan eine höhere Anzahl an Behandlungstagen (siehe Abschnitt 3.2.1) veranschlagt, so ergeben sich höhere Arzneimittelkosten als vom pU angegeben. Es entstehen vom pU nicht veranschlagte Kosten für die Verabreichung von Pegcetacoplan mithilfe einer Spritzeninfusionspumpe und für die Überwachung auf Anzeichen und Symptome einer Hämolyse. Der pU veranschlagt korrekt keine Kosten gemäß Hilfstaxe.
<p>a. Angabe des pU b. Davon abweichend gibt der pU in Modul 3 A (Abschnitt 3.3.4) für mehrere Leistungen an, dass die Kosten nicht bezifferbar sind (siehe Abschnitt 3.2.4). GKV: gesetzliche Krankenversicherung; PNH: paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>						

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. Swedish Orphan Biovitrum. Fachinformation Aspaveli [Stand: Dezember 2021]. 2021.
3. Swedish Orphan Biovitrum. Final Report. Incidence, Prevalence, Target Population, Healthcare Resource Utilization and Healthcare Costs of Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH). Analysis of German Claims Data to Support the Unmet Need and Epidemiology Section (Module 3) of the AMNOG Dossier (§35a SGB V) for Pegcetacoplan (APL-2). 2022.
4. Alexion Europe. Fachinformation Soliris 300 mg [Stand: Mai 2020]. 2020.
5. Statistisches Bundesamt. Bevölkerungsstand. Bevölkerung nach Altersgruppen - Bevölkerung nach Altersgruppen 2011 bis 2020. Deutschland [online]. 2021 [Zugriff: 10.11.2021]. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/Tabellen/liste-altersgruppen.html>.
6. Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie. Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie (PNH) - Leitlinie. 2022.