

### 3.3.3 Angaben zu Kosten des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie

Geben Sie Tabelle 3-16 an, wie hoch die Apothekenabgabepreise für das zu bewertende Arzneimittel sowie für die zweckmäßige Vergleichstherapie sind. Generell soll(en) die für die Behandlungsdauer zweckmäßigste(n) und wirtschaftlichste(n) verordnungsfähige(n) Packungsgröße(n) gewählt werden. Sofern Festbeträge vorhanden sind, müssen diese angegeben werden. Sofern keine Festbeträge bestehen, soll das günstigste Arzneimittel gewählt werden. Importarzneimittel sollen nicht berücksichtigt werden. Geben Sie zusätzlich die den Krankenkassen tatsächlich entstehenden Kosten an. Dazu ist der Apothekenabgabepreis nach Abzug der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte (siehe § 130 und § 130a SGB V mit Ausnahme der in § 130a Absatz 8 SGB V genannten Rabatte) anzugeben. Im Falle einer nichtmedikamentösen zweckmäßigen Vergleichstherapie sind entsprechende Angaben zu deren Vergütung aus GKV-Perspektive zu machen. Fügen Sie für jede Therapie eine neue Zeile ein. Sofern eine Darlegung der Kosten gemessen am Apothekenabgabepreis nicht möglich ist, sind die Kosten auf Basis anderer geeigneter Angaben darzulegen.

Tabelle 3-16: Kosten des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie

Bezeichnung der Therapie (zu bewertendes Arzneimittel, zweckmäßige Vergleichstherapie)	Kosten pro Packung (z.B. Apothekenabgabepreis oder andere geeignete Angaben in Euro nach Wirkstärke, Darreichungsform und Packungsgröße, für nichtmedikamentöse Behandlungen Angaben zu deren Vergütung aus GKV-Perspektive)	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte in Euro
<b>Zu bewertendes Arzneimittel</b>		
Etranacogen dezaparovec (Hemgenix®)  Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung (steriles Konzentrat)	390.005,88 € als erste Jahreszahlung <sup>1</sup>	351.812,06 € als erste Jahreszahlung <sup>1</sup>
<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie</b>		
Nicht zutreffend	---	---
<sup>1</sup> CSL Behring schlägt für EtranaDez ein adaptives, jährliches, leistungsbezogenes Zahlungsmodell vor. Dies wird im Rahmen von Rabattverträgen gemäß § 130a Abs. 8 i.V.m. 130c Abs. 1 SGB V in sogenannten „Tag-EINS“-Verträgen den gesetzlichen Krankenversicherungen angeboten. Als erste Jahreszahlung ist ein Betrag von 280.000 EUR netto, das heißt nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte und ohne Berücksichtigung der Mehrwertsteuer, seitens CSL Behring vorgesehen. Diese Kosten sind in der Tabelle abgebildet. Vor diesem Hintergrund gibt es derzeit keinen einmaligen Preis pro Packung, der ausgewiesen werden kann.		

Begründen Sie die Angaben in Tabelle 3-16 unter Nennung der verwendeten Quellen.

EtranaDez wird als Klinikpackung nur an Krankenhaus- bzw. krankenhausversorgende Apotheken abgegeben und unterliegt somit nicht der Arzneimittelpreisverordnung. Vor diesem Hintergrund ist EtranaDez in der Lauer-Taxe gelistet, es wird jedoch kein (Einmal-)Preis ausgewiesen. Dies stünde nicht im Einklang mit dem von CSL Behring vorgeschlagenen,

neuen Erstattungsmodell für Arzneimittel für neuartige Therapien (Advanced Therapy Medicinal Products, ATMPs), die eine bestehende Dauertherapie ersetzen.

CSL Behring schlägt für EtranaDez ein adaptives, jährliches, leistungsbezogenes Zahlungsmodell für das deutsche Gesundheitssystem vor. Im Gegensatz zu bisherigen Modellen, die eine Einmalzahlung vorsehen, sollen stattdessen jährliche Zahlungen bei fortwährendem Therapieerfolg geleistet werden, die sich an die Preisentwicklung der bisherigen Therapien anpassen. Das entspricht prinzipiell den Zahlungsmodalitäten der Dauertherapie bei chronischen Erkrankungen wie der Hämophilie B. Hier erfolgt jedoch die Zahlung der Therapiekosten jährlich ein Leben lang. Bei Therapieversagen oder beim Erreichen eines zu vereinbarenden maximalen Zahlungszeitraums erfolgen keine weiteren Zahlungen durch die Kostenträger an den pharmazeutischen Unternehmer. Dadurch wird zum einen das Risiko einer ungerechtfertigten Zahlung im Falle eines Therapieversagens vermieden, zum anderen aber auch gewährleistet, dass sich der Erstattungsbetrag an sinkende Kosten der bisherigen Dauertherapie anpasst und damit das Risiko einer unwirtschaftlichen Erstattung ausgeschlossen wird. Die Zahlung ist an den patientenindividuellen Therapieerfolg gekoppelt.

Dadurch würden die Krankenkassen nicht mit höheren jährlichen Kosten belastet werden als für die bisherige Dauertherapie.

Die Höhe der Jahrestherapiekosten für die Gentherapie würde sich somit an den durchschnittlichen Jahrestherapiekosten der bisherigen Dauertherapie, unter Berücksichtigung des Zusatznutzens der Gentherapie orientieren.

Um Preistransparenz zu gewährleisten, erfolgt gegenüber den Kostenträgern eine Offenlegung des Betrags für das erste Jahr, der bis zu einer abschließenden Vereinbarung des Erstattungsbetrags mit dem GKV-Spitzenverband gilt.

Im Rahmen eines sogenannten „Tag-EINS“-Vertrags bietet CSL Behring den gesetzlichen Krankenversicherungen freiwillig bereits ab dem ersten Tag der Verfügbarkeit des Arzneimittels in Deutschland das erläuterte Erstattungsmodell an und somit noch vor der Verhandlung mit dem GKV-Spitzenverband.

Vor diesem Hintergrund gibt es derzeit keinen einmaligen Preis pro Packung, der ausgewiesen werden kann. Stattdessen wird bei Behandlung mit EtranaDez im Rahmen des „Tag-EINS“-Vertrags die erste Jahreszahlung mit der entsprechenden gesetzlichen Krankenversicherung vereinbart. Als erste Jahreszahlung ist ein Betrag von 280.000 EUR netto, das heißt nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte und ohne Berücksichtigung der Mehrwertsteuer, seitens CSL Behring vorgesehen. Der Großhandelszuschlag gemäß Arzneimittelpreisverordnung entfällt. Die Höhe der Apothekenvergütung ist in den jeweiligen § 129a SGB V Verträgen geregelt. Legt man die Arzneimittelpreisverordnung zu Grunde, würde diese bei 9.554,21 € liegen.

Durch den „Tag-EINS“-Vertrag wird der nachträglich zu verhandelnde Erstattungsbetrag nach §130b SGB V rückwirkend berücksichtigt, d.h. die erste Jahreszahlung wird rückwirkend entsprechend angepasst. Die tatsächlichen Kosten für die gesetzliche Krankenversicherung für

die Behandlung im ersten Jahr nach der Behandlung mit EtranaDez kann somit von den hier dargestellten Kosten abweichen. In der Erstattungsbetragsvereinbarung nach §130b SGB V soll die Höhe und der Zeitraum der Jahreszahlungen ab dem 2. Jahr nach der Behandlung vereinbart werden.

### 3.3.5 Angaben zu Jahrestherapiekosten

Geben Sie in Tabelle 3-20 die Jahrestherapiekosten für die GKV durch Zusammenführung der in den Abschnitten 3.3.1 bis 3.3.4 entwickelten Daten an, und zwar getrennt für das zu bewertende Arzneimittel und die zweckmäßige Vergleichstherapie sowie getrennt für die Zielpopulation und die Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen. Weisen sie dabei bitte auch die Arzneimittelkosten pro Patient pro Jahr und Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen pro Jahr sowie Kosten gemäß Hilfstaxe pro Jahr getrennt voneinander aus. Stellen Sie Ihre Berechnungen möglichst in einer Excel Tabelle dar und fügen diese als Quelle hinzu. Fügen Sie für jede Therapie, Behandlungssituation und jede Population bzw. Patientengruppe eine neue Zeile ein. Unsicherheit sowie variierende Behandlungsdauern sollen in Form von Spannen ausgewiesen werden.

Tabelle 3-20: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel und die zweckmäßige Vergleichstherapie (pro Patient)

Bezeichnung der Therapie (zu bewertendes Arzneimittel, zweckmäßige Vergleichstherapie)	Bezeichnung der Population bzw. Patientengruppe	Arzneimittelkosten pro Patient pro Jahr in € <sup>1</sup>	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen pro Patient pro Jahr in €	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) pro Patient pro Jahr in €	Jahrestherapiekosten pro Patient in Euro
<b>Zu bewertendes Arzneimittel</b>					
Etranacogen dezaparvovec (Hemgenix®)  Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung (steriles Konzentrat)	Erwachsene Patienten mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ohne Faktor-IX-Inhibitoren in ihrer Vorgeschichte	351.812,06 € als erste Jahreszahlung <sup>2</sup>	Jahr 1: 425,26 €  Jahr 2: mind. 66,21 €  Ab Jahr 3: mind. 40,96 €	0 €	352.237,32 € <sup>2</sup> in Jahr 1
<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie</b>					
Nicht zutreffend	---	---	---	---	---

<sup>1</sup> Die empfohlene Dosis beträgt 2 x 10<sup>13</sup> gc/kg Körpergewicht (entspricht 2 ml/kg Körpergewicht). In der pivotalen Studie HOPE-B betrug das durchschnittliche Körpergewicht der Sicherheitspopulation 85,0 kg.

<sup>2</sup> CSL Behring schlägt für EtranaDez ein adaptives, jährliches, leistungsbezogenes Zahlungsmodell vor. Dies wird im Rahmen von Rabattverträgen gemäß § 130a Abs. 8 i.V.m. 130c Abs. 1 SGB V in sogenannten „Tag-EINS“-Verträgen den gesetzlichen Krankenkassen angeboten. Vor diesem Hintergrund gibt es derzeit keinen einmaligen Preis pro Packung, der ausgewiesen werden kann.

AAV5: Adeno-assoziiertes Virus, Serotyp 5; gc: Gene copies (Genomkopien); GKV: Gesetzliche Krankenversicherung