

# Setmelanotid (Bardet-Biedl-Syndrom)

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

A horizontal bar composed of 18 colored segments in various shades of blue and grey. A dark blue segment in the middle contains the text 'DOSSIERBEWERTUNG' in white, uppercase letters.

**DOSSIERBEWERTUNG**

Projekt: G23-12

Version: 1.0

Stand: 07.08.2023

IQWiG-Berichte – Nr. 1608

# Impressum

## **Herausgeber**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## **Thema**

Setmelanotid (Bardet-Biedl-Syndrom) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

## **Auftraggeber**

Gemeinsamer Bundesausschuss

## **Datum des Auftrags**

16.05.2023

## **Interne Projektnummer**

G23-12

## **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](mailto:berichte@iqwig.de)

Internet: [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de)

**ISSN: 1864-2500**

### **Medizinisch-fachliche Beratung**

- Matthias Breidert, Kantonsspital Olten, Schweiz

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**

- Tobias Effertz
- Christiane Balg
- Sarah Mostardt
- Corinna ten Thoren

### **Schlagwörter**

Setmelanotid, Bardet-Biedl-Syndrom, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

### **Keywords**

Setmelanotide, Bardet-Biedl Syndrome, Health Care Costs, Epidemiology

# Inhaltsverzeichnis

	Seite
<b>Tabellenverzeichnis .....</b>	<b>iv</b>
<b>Abkürzungsverzeichnis.....</b>	<b>v</b>
<b>1 Hintergrund.....</b>	<b>1</b>
<b>1.1 Anwendungsgebiet.....</b>	<b>1</b>
<b>1.2 Verlauf des Projekts.....</b>	<b>1</b>
<b>1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs .....</b>	<b>2</b>
<b>2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....</b>	<b>3</b>
<b>3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie .....</b>	<b>4</b>
<b>3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch         bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....</b>	<b>4</b>
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	4
3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU .....	4
3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	5
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten .....	6
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung .....	6
<b>3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....</b>	<b>7</b>
3.2.1 Behandlungsdauer.....	7
3.2.2 Verbrauch .....	7
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels .....	8
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	8
3.2.5 Jahrestherapiekosten .....	9
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	10
3.2.7 Versorgungsanteile.....	11
<b>4 Literatur .....</b>	<b>12</b>
<b>Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen .....</b>	<b>13</b>

## Tabellenverzeichnis

	<b>Seite</b>
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	4
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	6
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr .....	10

## Abkürzungsverzeichnis

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
BBS	Bardet-Biedl-Syndrom
EBM	Einheitlicher Bewertungsmaßstab
EG	Europäische Gemeinschaft
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

## 1 Hintergrund

### 1.1 Anwendungsgebiet

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

Setmelanotid wird angewendet bei Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem Bardet-Biedl-Syndrom (BBS).

### 1.2 Verlauf des Projekts

Setmelanotid ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen<sup>1</sup> ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V beauftragt, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

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

zu bewerten. Das Dossier wurde dem IQWiG am 16.05.2023 übermittelt.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Die Beschlussfassung erfolgt durch den G-BA im Anschluss an das Stellungnahmeverfahren.

Die vorliegende Bewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung beinhaltete 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 eine Einbindung im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen erfolgen. Alle Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pU.

---

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

Bei der Dossierbewertung werden die Anforderungen berücksichtigt, 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.

### **1.3 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](http://www.g-ba.de)).

## **2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung**

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. Ggf. werden vom G-BA außerdem Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung adressiert. Aus diesen Gründen sind die Bewertung des Zusatznutzens und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung 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 das BBS nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Setmelanotid [2]. Demnach ist Setmelanotid gemäß dem neu zugelassenen Anwendungsgebiet indiziert bei Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem BBS.

##### 3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte, die in der folgenden Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

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

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Patientenzahl)
1	Personen $\geq$ 6 Jahren in Deutschland im Jahr 2021		78 700 000
2	Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS	0,06–0,17 je 10 000	472–1338
3	Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS mit Adipositas bzw. unkontrolliertem Hungergefühl	83 %	392–1110
4	Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS mit Adipositas bzw. unkontrolliertem Hungergefühl in der GKV	88,37 %	346–981

BBS: Bardet-Biedl-Syndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer

##### 3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

###### Schritt 1: Personen $\geq$ 6 Jahren in Deutschland im Jahr 2021

Der pU entnimmt der 14. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung für Deutschland des Statistischen Bundesamtes eine erwartete Gesamtbevölkerung von 83,5 Millionen Personen für das Jahr 2021 bei angenommener moderater Bevölkerungsentwicklung (stabile Geburtenziffer bei moderatem Anstieg der Lebenserwartung und niedrigem Wanderungssaldo; Variante G2L2W1) [3]. Der pU zieht von dieser Gesamtzahl die Anzahl an Kindern im Alter unter 6 Jahren ab und erhält 78,7 Millionen Personen  $\geq$  6 Jahren.

## **Schritt 2: Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS**

Für die Festlegung der Prävalenz des BBS bildet der pU eine Spanne mit Prävalenzangaben aus verschiedenen Quellen: Aus 3 Publikationen entnimmt der pU jeweils die Untergrenze von 0,06 pro 10 000 Personen [4-6], die Obergrenze von 0,17 pro 10 000 Personen entnimmt der pU aus Orphanet [7]. Die 3 für die Untergrenze herangezogenen Publikationen [4-6] zitieren jeweils Prävalenzangaben aus früheren Publikationen. Die Informationen aus Orphanet für die Obergrenze zur Prävalenzspanne werden nicht mit Quellen belegt [7].

Mittels der gebildeten Prävalenzspanne errechnet der pU eine Anzahl an Patientinnen und Patienten mit BBS von 472 bis 1338.

## **Schritt 3: Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS mit Adipositas bzw. unkontrolliertem Hungergefühl**

Der pU leitet einen Anteilswert in Höhe von 83 % für den Anteil an adipösen Personen innerhalb der Patientengruppe mit BBS ab, indem er den Mittelwert einer angegebenen Spanne (72 % bis 92 %) aus einer Übersichtsarbeit von Forsythe und Beales (2013) [5] zu verschiedenen Studien des BBS bildet. Angewendet auf die Spanne aus Schritt 2 ergeben sich 392–1110 Patientinnen und Patienten.

## **Schritt 4: Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS und mit Adipositas bzw. unkontrolliertem Hungergefühl in der GKV**

Der pU legt einen GKV-Versichertenanteil von 88,37 % zugrunde. Mit diesem verrechnet ergeben sich 346 bis 981 Patientinnen und Patienten mit BBS und mit Adipositas bzw. unkontrolliertem Hungergefühl in der GKV-Zielpopulation.

### **3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU**

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sind rechnerisch nachvollziehbar. Folgendes ist jedoch kritisch zu sehen und führt insgesamt zur Unsicherheit der vom pU geschätzten Angaben:

#### ***Zu Schritt 2: Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS***

Die Angaben des pU zur Prävalenz der Untergrenze [4-6] beruhen letztlich auf Studien, die bis in die 1960er Jahre zurückgehen. Da es sich dabei um sehr alte Daten handelt, ist es möglich, dass die Prävalenzangabe zur Untergrenze potenziell unterschätzt ist, da verschiedene Genotypen des BBS zum Zeitpunkt der jeweiligen Untersuchungen noch nicht bekannt gewesen sein dürften.

In der Publikation zur Obergrenze werden lediglich Prävalenzangaben berichtet, ohne zugrunde liegende epidemiologische Studien zu benennen. Dies führt zu Unsicherheit hinsichtlich der Prävalenzangabe.

### **Zu Schritt 3: Patientinnen und Patienten $\geq$ 6 Jahren mit BBS und mit Adipositas bzw. unkontrolliertem Hungergefühl**

Bei der Publikation von Forsythe und Beales (2013) besteht Unsicherheit dadurch, dass die berichteten Anteilswerte aus Erhebungen stammen, die teilweise mehrere Jahrzehnte zurückliegen. Dadurch ist u. U. eine Übertragbarkeit auf die heutige Zielpopulation nicht mehr gegeben.

Der pU operationalisiert die im Anwendungsgebiet genannten Kriterien der Adipositas bzw. des unkontrollierten Hungergefühls über das alleinige Vorliegen einer Adipositas. Es bleibt unklar, ob das Anwendungsgebiet auch nicht-adipöse Patientinnen und Patienten mit BBS und mit unkontrolliertem Hungergefühl betrifft. Vor diesem Hintergrund wird empfohlen, anstelle des mittleren Wertes die Spanne für den Anteilswert adipöser Personen mit Bardet-Biedl-Syndrom von 72 % bis 92 % anzusetzen und die Zielpopulation entsprechend zu kalkulieren.

#### **Zusammenfassende Bewertung:**

Die hergeleitete Zielpopulation ist insbesondere aufgrund der letztlich teils über 50 Jahre alten Datenquellen mit Unsicherheit behaftet. Bei Berücksichtigung einer Spanne für den Anteil adipöser Patientinnen und Patienten in Schritt 3 (72 % bis 92 %) resultiert eine Zielpopulation von ca. 300 bis 1090 Personen.

#### **3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten**

Der pU interpretiert die Befundlage zu BBS so, dass die bestehende Datenlage nicht auf eine mögliche Änderung der Prävalenz schließen lässt. Der pU nimmt an, dass die ermittelten Anteile zur Prävalenz der Adipositas im Zusammenhang mit einem BBS im 5-Jahreszeitraum von 2023 bis 2027 keine Änderung erfahren werden und sich die Bevölkerung in diesem Zeitraum nur geringfügig reduziert.

#### **3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung**

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

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten <sup>a</sup>	Kommentar
Setmelanotid	Erwachsene und Kinder ab 6 Jahren mit genetisch bestätigtem BBS zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls	346–981	Die Angaben des pU sind mit Unsicherheit behaftet. Die maßgeblichen Gründe sind: <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Die Abschätzung der Untergrenze beruht auf alten Studien / Daten.</li> <li>▪ Die berichtete Obergrenze zur Prävalenz des BBS ist nicht mit Quellen belegt.</li> <li>▪ Die Verwendung eines mittleren Anteilswertes anstelle einer Spanne für den Anteilswert adipöser Patientinnen und Patienten mit BBS.</li> </ul>
a. Angabe des pU BBS: Bardet-Biedl-Syndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

### **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**

Da in der Fachinformation von Setmelanotid [2] keine maximale Behandlungsdauer angegeben ist, wird in der vorliegenden Bewertung rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Behandlungsdauer patientenindividuell unterschiedlich ist. Dies entspricht dem Vorgehen des pU.

#### **3.2.2 Verbrauch**

Im Folgenden wird der vom pU angesetzte Verbrauch von Setmelanotid für die Folgejahre bewertet: Der pU legt jeweils eine Spanne als Erhaltungsdosis von 0,5 bis 3 mg für die Altersgruppe der 6 bis < 16-Jährigen und von 1 bis 3 mg für die Altersgruppe ab 16 Jahren sowie für Erwachsene zugrunde.

Setmelanotid wird laut Fachinformation 1-mal täglich verabreicht [2]. Der Fachinformation sind weiterhin getrennt nach 2 Altersgruppen folgende Dosierungsempfehlungen zu entnehmen:

1) Altersgruppe der 6- bis < 16-Jährigen:

- Woche 1: 1 mg 1-mal täglich
- Woche 2 (wenn die Dosis von 1 mg 1-mal täglich gut vertragen wird): 2 mg 1-mal täglich
- ab Woche 3 (wenn die Dosis von 2 mg 1-mal täglich gut vertragen wird): 3 mg 1-mal täglich

Der Fachinformation [2] ist unter anderem der Hinweis zu entnehmen, dass die Dosis auf 0,5 mg 1-mal täglich zu reduzieren ist, wenn die Anfangsdosis von 1 mg nicht vertragen wird. Wenn die Dosis von 0,5 mg 1-mal täglich vertragen wird, wird die Dosis auf 1 mg 1-mal täglich erhöht und die Dosistitration fortgesetzt.

2) Altersgruppe ab 16 Jahren sowie Erwachsene:

- Woche 1 bis 2: 2 mg 1-mal täglich
- ab Woche 3 (wenn die Dosis von 2 mg 1-mal täglich gut vertragen wird): 3 mg 1-mal täglich

Der Fachinformation [2] ist unter anderem der Hinweis zu entnehmen, dass die Dosis auf 1 mg 1-mal täglich zu reduzieren ist, wenn die Anfangsdosis von 2 mg nicht vertragen wird. Die Dosistitration wird fortgesetzt, wenn die Dosis von 1 mg 1-mal täglich vertragen wird.

Wird dem Vorgehen des pU gefolgt sämtliche Dosisangaben als potenzielle Erhaltungsdosen anzusetzen, sind die Angaben des pU plausibel [2].

Es ist darauf hinzuweisen, dass das Ansprechen auf die Therapie regelmäßig bewertet werden sollte, wobei bei im Wachstum befindlichen Kindern die möglichen Auswirkungen der Gewichtsabnahme auf Wachstum und Reifung zu bewerten sind.

### **3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels**

Die Kosten des zu bewertenden Arzneimittels sind weitestgehend plausibel. Der pU zieht für seine Kostenberechnung den Apothekenverkaufspreis von Setmelanotid zum Stand der Lauer-Taxe vom 01.06.2022 heran (3381,10 €). Dieser Preis ist der Lauer-Taxe auch zum 15.05.2023 (Stand des Dossiers) zu entnehmen. Zudem zieht der pU den Herstellerrabatt von 12 % (330 €) und den bis zum 31.01.2023 geltenden Apothekenrabatt von 1,77 € ab. Für den Apothekenrabatt wäre zum Stand 15.05.2023 ein Betrag in Höhe von 2,00 € abzuziehen.

### **3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen**

Der pU veranschlagt Kosten für zusätzliche Leistungen, die sich nicht alle aus der Fachinformation [2] ergeben: Für die Injektion von Setmelanotid ist gemäß Fachinformation stets eine neue Spritze zu verwenden. Hierfür veranschlagt der pU Kosten für Feindosierungsspritzen, die in der Lauer-Taxe zum 01.06.2022 mit einer Packung zu je 100 Stück zu 23,60 € gelistet sind. Der pU legt den ausgewiesenen Herstellerabgabepreis (ohne Mehrwertsteuer) zugrunde. Ein Apothekenverkaufspreis kann dafür der Lauer-Taxe nicht entnommen werden. Zum Stand der Lauer-Taxe 15.05.2023 ergibt sich ein höherer Herstellerabgabepreis von 25,89 €. Der pU ermittelt Jahrestherapiekosten auf Basis von 3,65 Packungen (365 Spritzen), dies entspricht der benötigten Anzahl pro Jahr. Die vom pU angesetzten Kosten gemäß Hilfstaxe sind den Kosten für zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen zuzuordnen.

Der pU setzt weiterhin Kosten gemäß EBM für 1 jährliche umfassende ärztliche Hautuntersuchung auf vorhandene und neue Pigmentläsionen der Haut sowie 1 Kontrolluntersuchung von Herzfrequenz und Blutdruck pro Quartal an. Dies ist nachvollziehbar.

Ebenso gibt der pU Kosten für eine Überwachung von Depression und suizidalen Gedanken an, die sich laut Fachinformation nur für die Patientengruppe mit Depressionen ergeben und damit bei der Kostenberechnung nicht zu berücksichtigen sind.

### **3.2.5 Jahrestherapiekosten**

Der pU ermittelt für Setmelanotid Jahrestherapiekosten pro Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren in Höhe von 111 533,99 bis 334 135,08 € bzw. pro Kind und Jugendlichen von 6 bis 16 Jahren in Höhe von 55 883,71 bis 334 135,08 €. Sie bestehen aus Arzneimittelkosten, Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen sowie Kosten gemäß Hilfstaxe. Die Höhe der Arzneimittelkosten ist in der Größenordnung plausibel. Die vom pU angesetzten Kosten gemäß Hilfstaxe sind den Kosten für zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen zuzuordnen. Die Höhe der Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen ist dennoch in der Größenordnung nachvollziehbar.

### 3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € <sup>a</sup>	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € <sup>a</sup>	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € <sup>a</sup>	Jahres-therapiekosten in € <sup>a</sup>	Kommentar
Setmelanotid	Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit genetisch bestätigtem BBS zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls	111 300,55 – 333 901,64	147,30	86,14	111 533,99– 334 135,08	Die Angaben des pU zu den Arzneimittelkosten sind in der Größenordnung plausibel. Die vom pU angesetzten Kosten gemäß Hilfstaxe sind den Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zuzuordnen. Die Höhe der Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen ist dennoch in der Größenordnung nachvollziehbar.
	Kinder und Jugendliche im Alter von 6 bis 16 Jahren mit genetisch bestätigtem BBS zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls	55 650,27– 333 901,64	147,30	86,14	55 883,71– 334 135,08	
<p>a. Angabe des pU            BBS: Bardet-Biedl-Syndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>						

### **3.2.7 Versorgungsanteile**

Laut pU sind zum jetzigen Zeitpunkt keine Angaben verfügbar, die eine sichere Abschätzung des zukünftigen Versorgungsanteils von Setmelanotid erlauben.

Der pU geht davon aus, dass, mit Ausnahme der Patientinnen und Patienten mit bestehenden Kontraindikationen gegen den Wirkstoff Setmelanotid, alle Patientinnen und Patienten im Anwendungsgebiet für eine Behandlung mit Setmelanotid infrage kommen. Zu einer möglichen Aufteilung der Behandlung auf den stationären und ambulanten Sektor macht der pU keine Angaben.

#### 4 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. Rhythm Pharmaceuticals. Fachinformation. IMCIVREE 10mg/ml Injektionslösung. 2022.
3. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung Deutschlands bis 2060; Ergebnisse der 14. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung; Hauptvarianten 1 bis 9 [online]. 2019 [Zugriff: 24.07.2023]. URL: [https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsvorausberechnung/Publikationen/Downloads-Vorausberechnung/bevoelkerung-deutschland-2060-5124202199014.pdf?\\_\\_blob=publicationFile](https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsvorausberechnung/Publikationen/Downloads-Vorausberechnung/bevoelkerung-deutschland-2060-5124202199014.pdf?__blob=publicationFile).
4. Janssen S, Ramaswami G, Davis EE et al. Mutation analysis in Bardet-Biedl syndrome by DNA pooling and massively parallel resequencing in 105 individuals. Hum Genet 2011; 129(1): 79-90. <https://dx.doi.org/10.1007/s00439-010-0902-8>.
5. Forsythe E, Beales PL. Bardet-Biedl syndrome. Eur J Hum Genet 2013; 21(1): 8-13. <https://dx.doi.org/10.1038/ejhg.2012.115>.
6. Rooryck C, Lacombe D. [Bardet-Biedl syndrome]. Ann Endocrinol (Paris) 2008; 69(6): 463-471. <https://dx.doi.org/10.1016/j.ando.2008.10.001>.
7. Orphanet. ORPHA:110. Bardet-Biedl-Syndrom [online]. 2022. URL: [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease\\_Search.php?lng=EN&data\\_id=3244&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseGroup=Bardet-Biedl-syndrome&Disease\\_Disease\\_Search\\_diseaseType=Pat&Disease\(s\)/group%20of%20diseases=Bardet-Biedl-syndrome&title=Bardet-Biedl%20syndrome&search=Disease\\_Search\\_Simple](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=EN&data_id=3244&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=Bardet-Biedl-syndrome&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Disease(s)/group%20of%20diseases=Bardet-Biedl-syndrome&title=Bardet-Biedl%20syndrome&search=Disease_Search_Simple).

## Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen

### Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Beraterinnen oder Berater, 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 dem Berater ein ausgefülltes Formular „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ 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 Person anhand des „Formblatts zur Offenlegung von Beziehungen“. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6	Frage 7
Breidert, Matthias	Nein						

Im „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ wurden folgende 7 Fragen gestellt:

*Frage 1:* Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor bei einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband angestellt oder für diese / dieses / diesen selbstständig oder ehrenamtlich tätig bzw. sind oder waren Sie freiberuflich in eigener Praxis tätig?

*Frage 2:* Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor eine Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. eine Klinik, eine Einrichtung der Selbstverwaltung, eine Fachgesellschaft, ein Auftragsforschungsinstitut), ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Medizinproduktehersteller oder einen industriellen Interessenverband beraten (z. B. als Gutachter/-in, Sachverständige/r, in Zusammenhang mit klinischen Studien als Mitglied eines sogenannten Advisory Boards / eines Data Safety Monitoring Boards [DSMB] oder Steering Committees)?

*Frage 3:* Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband Honorare erhalten (z. B. für Vorträge, Schulungstätigkeiten, Stellungnahmen oder Artikel)?

*Frage 4:* Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband sogenannte Drittmittel erhalten (d. h. finanzielle Unterstützung z. B. für Forschungsaktivitäten, die Durchführung klinischer Studien, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen)? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

*Frage 5:* Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, 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 einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft,

einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

*Frage 6:* Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einem Auftragsforschungsinstitut), eines pharmazeutischen Unternehmens, eines Medizinprodukteherstellers oder eines industriellen Interessenverbands? Besitzen Sie Anteile eines sogenannten Branchenfonds, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Medizinproduktehersteller ausgerichtet ist? Besitzen Sie Patente für ein pharmazeutisches Erzeugnis, ein Medizinprodukt, eine medizinische Methode oder Gebrauchsmuster für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt?

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