

Iptacopan (Komplement-3-Glomerulopathie)

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

A decorative horizontal bar spanning the width of the page, composed of 18 squares of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is centered in white text on a dark blue segment.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G25-16

Version: 1.0

Stand: 25.07.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2051

DOI: 10.60584/G25-16

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Iptacopan (Komplement-3-Glomerulopathie) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

17.04.2025

Interne Projektnummer

G25-16

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-16>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: berichte@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Iptacopan (Komplement-3-Glomerulopathie); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-16>.

Schlagwörter

Iptacopan, Glomerulonephritis – membranoproliferative, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Iptacopan, Glomerulonephritis – Membranoproliferative, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Christoph Wanner, Dept für klinische Studien und Epidemiologie, DZHI, Universitätsklinikum Würzburg

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

- Christiane Balg
- Nadia Abu Rajab-Conrads
- Sarah Mostardt
- Corinna ten Thoren

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	vi
Abbildungsverzeichnis	vii
Abkürzungsverzeichnis.....	viii
1 Hintergrund	1
1.1 Anwendungsgebiet.....	1
1.2 Verlauf des Projekts.....	1
1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung	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 C, Abschnitt 3.2)	4
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.....	13
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	15
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	16
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 C, Abschnitt 3.3) ..	16
3.2.1 Behandlungsdauer.....	16
3.2.2 Verbrauch	16
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	16
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	17
3.2.5 Jahrestherapiekosten	17
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	18
3.2.7 Versorgungsanteile.....	19
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 C, Abschnitt 3.6)	19
4 Literatur	20
Anhang A Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse	22
Anhang B ATC- und OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung	24
Anhang C OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie.....	25

Anhang D Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen 26

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Patientinnen und Patienten der GKV-Zielpopulation in den Jahren 2018 bis 2022	12
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	16
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	18
Tabelle 4: Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse	22
Tabelle 5: ATC- und OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung	24
Tabelle 6: OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie	25

Abbildungsverzeichnis

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

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
ATC-Code	Anatomisch-therapeutisch-chemischer-Code
C3G	Komplement-3-Glomerulopathie
DDD	Dense Deposit Disease
DRG	Diagnosis-related Group (diagnosebezogene Fallgruppe)
EBM	Einheitlicher Bewertungsmaßstab
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)
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KDIGO	Kidney Disease: Improving Global Outcomes
MPGN	membranoproliferative Glomerulonephritis
OPS	Operationen- und Prozedurenschlüssel
pU	pharmazeutischer Unternehmer
RAS	Renin-Angiotensin-System
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

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

Iptacopan wird angewendet zur Behandlung erwachsener Patientinnen und Patienten mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitor oder bei Patientinnen und Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist.

1.2 Verlauf des Projekts

Iptacopan 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.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

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

Das Dossier wurde dem IQWiG am 17.04.2025 übermittelt.

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.

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.

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. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

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).

2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

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 C, Abschnitt 3.2)

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

3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die Komplement-3-Glomerulopathie (C3G) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

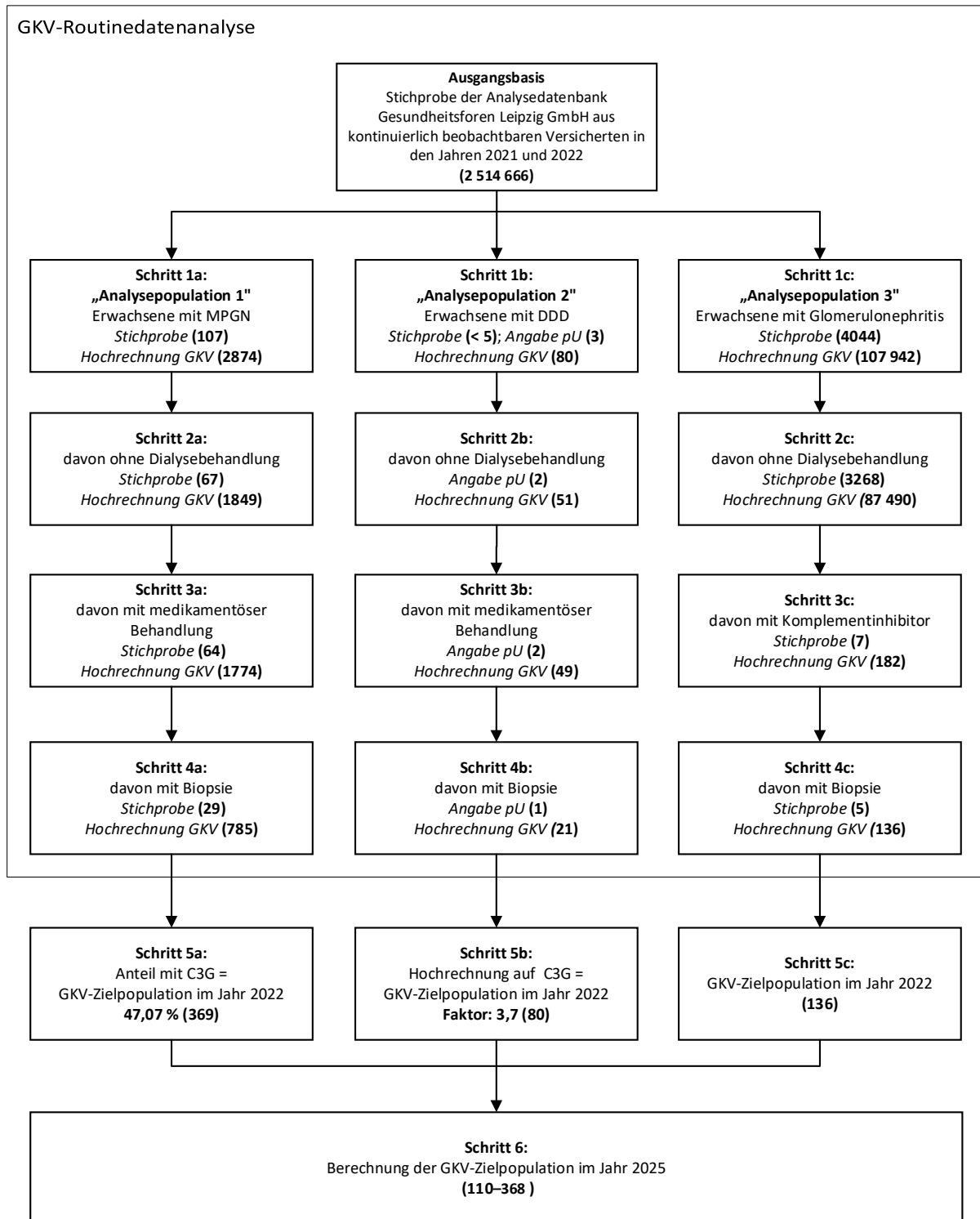
Gemäß Fachinformation wird Iptacopan angewendet zur Behandlung erwachsener Patientinnen und Patienten mit C3G in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitor oder bei Patientinnen und Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist [1].

Der pU operationalisiert Patientinnen und Patienten mit C3G, bei denen Iptacopan in Kombination mit einem RAS-Inhibitor angewendet wird, als diejenigen mit C3G, welche mit einem RAS-Inhibitor behandelt werden. RAS-Inhibitoren werden als Basistherapie bei Begleitsymptomen der C3G wie Bluthochdruck oder Proteinurie eingesetzt [2].

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

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



Angabe der Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Klammern
C3G: Komplement-3-Glomerulopathie; DDD: Dense Deposit Disease, GKV: gesetzliche Krankenversicherung;
MPGN: membranproliferative Glomerulonephritis; pU: pharmazeutischer Unternehmer

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

Vorbemerkung

In den Herleitungsschritten 1 bis 4 zieht der pU eine Routinedatenanalyse heran [3]. Für C3G existiert kein spezifischer Diagnose-Code gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation (ICD-10-GM). Daher nähert sich der pU der Zielpopulation über 3 verschiedene Populationen an („Analysepopulationen 1 bis 3“):

Im Abgleich mit der relevanten Patientenpopulation mit C3G umfasst laut pU Analysepopulation 1 eine breiter definierte Patientengruppe mit einer membranoproliferativen Glomerulonephritis (MPGN) und Analysepopulation 2 eine enger definierte Patientengruppe mit Dense Deposit Disease (DDD). Die MPGN schließt neben der C3G weitere Erkrankungen ein, während die DDD eine Unterform der C3G darstellt. Mithilfe von Literaturangaben schränkt der pU nachfolgend Analysepopulation 1 auf die relevante Patientenpopulation mit C3G ein bzw. rechnet Analysepopulation 2 auf die relevante Patientenpopulation mit C3G hoch (siehe Herleitungsschritt 5). Laut pU werden die in Analysepopulation 3 erhobenen Patientinnen und Patienten mit Glomerulonephritis bereits über die Schritte 1 bis 4 (unter anderem über das Aufgreifkriterium der Verordnung von Komplement-Inhibitoren) auf die relevante Patientenpopulation mit C3G eingegrenzt.

Analysepopulation 1 wird nachfolgend jeweils in den Teilschritten a, Analysepopulation 2 in den Teilschritten b und Analysepopulation 3 in den Teilschritten c beschrieben.

Ausgangsbasis

Die Grundlage zur Schätzung der Patientenzahlen bildet eine vom pU beauftragte Analyse von GKV-Routinedaten der Datenbank Gesundheitsforen Leipzig GmbH [3]. Die Datenbank enthält Abrechnungsdaten von 15 Krankenkassen mit mehr als 4,1 Millionen Versicherten der GKV der Jahre 2013 bis 2022 [3].

Die Ausgangsbasis der Schätzung der Patientenzahlen bilden 2 514 666 Versicherte, die in einem Mindestbeobachtungszeitraum von 2 Jahren (2021 und 2022) kontinuierlich beobachtbar waren, inklusive der Versicherten, die im Jahr 2022 verstarben [4].

In den nachfolgenden Schritten 1 bis 4 weist der pU neben der jeweiligen Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Routinedatenanalyse auch alters- und geschlechtsadjustiert hochgerechnete Anzahlen für die GKV aus, die sich zusätzlich der Abbildung 1 entnehmen lassen. Darüber hinaus beruhen die ausgewiesenen Anzahlen für Analysepopulation 2 auf eigenen Annahmen des pU, die in dem jeweiligen Herleitungsschritt erläutert werden.

Schritt 1: erwachsene Patientinnen und Patienten mit der Diagnose MPGN oder DDD oder Glomerulonephritis

Es wurden erwachsene Patientinnen und Patienten in den Analysepopulationen 1 bis 3 über unterschiedliche 4-stellige Codes gemäß ICD-10-GM aufgegriffen. Die Diagnosen mussten im Jahr 2022 wie folgt kodiert sein:

- mindestens 2 gesicherte ambulante oder 2 stationäre Nebendiagnosen in 2 Quartalen oder
- mindestens 1 stationäre Hauptdiagnose oder 1 ambulante Operation.

Die Auswahl der Codes erfolgte jeweils innerhalb der 7 Kategorien N00.- bis N06.- der übergeordneten Kategorie N00 bis N08 „Glomeruläre Krankheiten“:

- N00.- „Akutes nephritisches Syndrom“
- N01.- „Rapid-progressives nephritisches Syndrom“
- N02.- „Rezidivierende und persistierende Hämaturie“
- N03.- „Chronisches nephritisches Syndrom“
- N04.- „Nephrotisches Syndrom“
- N05.- „Nicht näher bezeichnetes nephritisches Syndrom“
- N06.- „Isolierte Proteinurie mit Angabe morphologischer Veränderungen“

Die Kategorien sind jeweils in Subkategorien .0 bis .9 untergliedert (4-stellige Codes) und dienen zur Verschlüsselung der morphologischen Veränderungen [5].

Schritt 1a: Patientinnen und Patienten mit der Diagnose MPGN (Analysepopulation 1)

Patientinnen und Patienten mit MPGN, die sowohl immunkomplex- und komplementvermittelte Formen (zu letzteren zählt z. B. die C3G) als auch weitere Formen umfasst [2], wurden über folgende Subkategorien aufgegriffen (insgesamt 14 Codes):

- Subkategorie .5: „Diffuse mesangiokapilläre Glomerulonephritis“ bzw. „Membranoproliferative Glomerulonephritis, Typ I und III, oder o.n.A.“
- Subkategorie .6: „Dense-deposit-Krankheit“ bzw. „Membranoproliferative Glomerulonephritis, Typ II“

Damit wurde eine Anzahl von 107 erwachsenen Patientinnen und Patienten selektiert.

Schritt 1b: Patientinnen und Patienten mit der Diagnose DDD (Analysepopulation 2)

Patientinnen und Patienten mit DDD, die neben der C3-Glomerulonephritis eine Unterform der C3G [2] darstellt, wurden über folgende Subkategorie aufgegriffen (insgesamt 7 Codes):

- Subkategorie .6: „Dense-deposit-Krankheit“ bzw. „Membranoproliferative Glomerulonephritis, Typ II“

In der beauftragten Analyse beträgt die Anzahl der Patientinnen und Patienten < 5. Der pU nimmt an, dass in diesem Schritt höchstens eine Anzahl von 3 Erwachsenen aufgegriffen wurden.

Schritt 1c: Patientinnen und Patienten mit der Diagnose Glomerulonephritis (Analysepopulation 3)

Mit der Analysepopulation 3 wurde eine weitere Population (laut pU: Patientinnen und Patienten mit Glomerulonephritis) über folgende Subkategorien aufgegriffen (insgesamt 28 Codes):

- Subkategorie .5: „Diffuse mesangiokapilläre Glomerulonephritis“ bzw. „Membranoproliferative Glomerulonephritis, Typ I und III, oder o.n.A.“
- Subkategorie .6: „Dense-deposit-Krankheit“ bzw. „Membranoproliferative Glomerulonephritis, Typ II“
- Subkategorie .7: „Glomerulonephritis mit diffuser Halbmondbildung“ bzw. „extrakapilläre Glomerulonephritis“
- Subkategorie .9: „Art der morphologischen Veränderung nicht näher bezeichnet“

Damit wurde eine Anzahl von 4044 erwachsenen Patientinnen und Patienten selektiert.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten ohne Dialysebehandlung

Im Anwendungsgebiet von Iptacopan geht der pU auf Grundlage des Beratungsgesprächs mit dem G-BA davon aus, dass bei Patientinnen und Patienten eine Verlangsamung der Krankheitsprogression angestrebt wird, sodass eine Nierenersatztherapie in Form von Dialyse oder Transplantation für die Patientinnen und Patienten noch nicht infrage kommt. Daher wurden Patientinnen und Patienten aus der Analyse ausgeschlossen, die 1 Kodierung für eine Dialyse im Jahr 2022 aufwiesen. Die hierfür betrachteten Kodierungen sind im Anhang A dargestellt.

Schritt 2a: Analysepopulation 1

Nach Anwendung dieses Ausschlusskriteriums verbleibt eine Anzahl von 67 Patientinnen und Patienten in der Population.

Schritt 2b: Analysepopulation 2

Da der Umfang in der Stichprobe zu gering ist (siehe Schritt 1b: 3 Patientinnen und Patienten), um sie auf Patientinnen und Patienten ohne Dialysebehandlung einzugrenzen, greift der pU näherungsweise auf einen Anteil in Höhe von 61,47 % aus Analysepopulation 1 zurück (67 Patientinnen und Patienten aus Schritt 2a dividiert durch 107 [pU dividiert durch 109] Patientinnen und Patienten aus Schritt 1a). Diesen Anteilswert multipliziert der pU mit der Anzahl aus Schritt 1b (3 Patientinnen und Patienten). Es ergibt sich eine Anzahl von 2 Patientinnen und Patienten.

Schritt 2c: Analysepopulation 3

Nach Anwendung des Ausschlusskriteriums verbleibt eine Anzahl von 3268 Patientinnen und Patienten in der Population.

Schritt 3: Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

Der pU geht davon aus, dass alle Patientinnen und Patienten mit C3G eine medikamentöse Therapie erhalten. Daher wurden in diesem Schritt Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 Verordnung bestimmter Wirkstoffe im Jahr 2022 aufgegriffen. In Abhängigkeit der Analysepopulation wurden folgende Wirkstoffe herangezogen (siehe Anhang B zu den herangezogenen Anatomisch-therapeutisch-chemischer[ATC]²- sowie Operationen und Prozeduren-schlüssel[OPS]-Codes):

Schritte 3a und b: Analysepopulationen 1 und 2

- RAS-Inhibitoren: ACE-Hemmer (rein oder Kombinationen), Angiotensin-II-Rezeptorblocker (rein oder Kombinationen)
- Immunsuppressiva: Corticosteroide zur systemischen Anwendung (rein), Mycophenolsäure, Ciclosporin
- Komplement-Inhibitoren: Eculizumab, Ravulizumab, Pegcetacoplan, Avacopan

Nach Anwendung dieses Kriteriums verbleibt eine Anzahl von 64 Patientinnen und Patienten in Analysepopulation 1.

Der pU greift für Analysepopulation 2 auf einen Anteilswert in Höhe von 95,5 % der Analysepopulation 1 zurück (64 Patientinnen und Patienten aus Schritt 3a dividiert durch 67 Patientinnen und Patienten aus Schritt 2a). Diesen Anteilswert multipliziert er mit der Anzahl aus Schritt 2b (2 Patientinnen und Patienten). Somit ergibt sich eine Anzahl von 2 Patientinnen und Patienten für Analysepopulation 2.

² Die Erstellung der Dossierbewertung erfolgte unter Verwendung der Datenträger der amtlichen Fassung der ATC-Klassifikation mit definierten Tagesdosen des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte. Als Datengrundlage diente die Version des Jahres 2022 [6].

Schritt 3c: Analysepopulation 3

- Komplement-Inhibitoren: Eculizumab, Ravulizumab, Pegcetacoplan, Avacopan

Der pU begründet die engere Auswahl der Arzneimittel für Analysepopulation 3 damit, dass hierdurch Patientinnen und Patienten mit einer komplementvermittelten Form der Glomerulonephritis identifiziert werden. Es verbleibt eine Anzahl von 7 Patientinnen und Patienten in Analysepopulation 3.

Schritt 4: Patientinnen und Patienten mit Biopsie

In diesem Schritt wurden diejenigen Patientinnen und Patienten selektiert, die vor der letzten Diagnose (siehe 4-stellige Codes gemäß ICD-10-GM aus Schritt 1) eine Biopsie aufwiesen. Dafür wurde der individuelle Gesamtbeobachtungszeitraum der eingeschlossenen Patientinnen und Patienten betrachtet, der bis zu 10 Jahre (2013 bis 2022) betragen konnte. Die herangezogenen OPS-Codes für eine Nierenbiopsie sind im Anhang C dargestellt.

Schritt 4a: Analysepopulation 1

Es wurde eine Anzahl von 29 Patientinnen und Patienten selektiert. Die Hochrechnung ergibt eine Anzahl von 785 Patientinnen und Patienten in der GKV.

Schritt 4b: Analysepopulation 2

Der pU greift für Analysepopulation 2 wiederum näherungsweise auf den Anteil in Höhe von 45,31 % der Analysepopulation 1 zurück (29 Patientinnen und Patienten aus Schritt 4a dividiert durch 64 Patientinnen und Patienten aus Schritt 3a). Diesen multipliziert er mit der Anzahl aus Schritt 3b. Es ergibt sich eine Anzahl von 1 Patientin bzw. Patient sowie hochgerechnet 21 Patientinnen und Patienten in der GKV.

Schritt 4c: Analysepopulation 3

Es wurde eine Anzahl von 5 Patientinnen und Patienten aufgegriffen. Die Hochrechnung ergibt eine Anzahl von 136 Patientinnen und Patienten in der GKV.

Schritt 5: Patientinnen und Patienten mit C3G in der GKV im Jahr 2022

Schritt 5a: Anteil der Patientinnen und Patienten mit C3G (Analysepopulation 1)

Mit Analysepopulation 1 sind laut pU Patientinnen und Patienten mit MPGN im Jahr 2022 aufgegriffen. Diese Erkrankungen umfassen sowohl immunkomplex- und komplementvermittelte als auch weitere Formen der MPGN. Der pU ermittelt einen Anteil in Höhe von 47,04 % für die Patientengruppe mit C3G innerhalb dieser Analysepopulation.

Der Anteilswert basiert auf einer retrospektiven Registeranalyse im Vereinigten Königreich [7]. Es wurde eine Anzahl von 287 Patientinnen und Patienten mit bestätigter Diagnose von C3G oder immunkomplexvermittelten MPGN eingeschlossen und u. a. hinsichtlich der

Patientencharakteristika sowie deren Nierenfunktionswerte im Zeitverlauf untersucht. Von der eingeschlossenen Patientengruppe wiesen 135 Patientinnen und Patienten (47,04 %) eine C3G auf.

Durch Übertragung dieses Anteilswerts auf die Patientenpopulation in Schritt 4a ermittelt er eine Anzahl von 369 Patientinnen und Patienten mit C3G in der GKV für das Jahr 2022.

Schritt 5b: Hochrechnung der Patientinnen und Patienten mit C3G (Analysepopulation 2)

Mit Analysepopulation 2 sind laut pU Patientinnen und Patienten mit DDD, einer Unterform der C3G, aufgegriffen. Für die Hochrechnung auf die Patientengruppe mit C3G zieht der pU eine Markforschungsanalyse [8] heran, bei der 189 Nephrologen aus dem Vereinigten Königreich, Deutschland, Italien, Frankreich und Spanien zu Patientinnen und Patienten mit C3G befragt wurden. Eine Anzahl von 29 deutschen Nephrologen schätzt, dass ein Anteil von 27 % der Patientinnen und Patienten mit C3G die Unterform DDD aufweist.

Der pU ermittelt anhand dieses Anteils einen Hochrechnungsfaktor von 3,7 ($= 100 \% / 27 \%$), mit dem er die Patientinnen und Patienten mit DDD auf die Patientengruppe mit C3G (DDD und C3-Glomerulonephritis) hochrechnet. Übertragen auf die ermittelte Anzahl in Schritt 4b ergibt sich eine Anzahl von 80 Patientinnen und Patienten mit C3G in der GKV für das Jahr 2022.

Schritt 5c: Patientinnen und Patienten mit C3G (Analysepopulation 3)

Mit der Analysepopulation 3 in Schritt 4c sind laut pU Patientinnen und Patienten mit C3G als Annäherung bereits umfänglich erfasst (136 Patientinnen und Patienten in der GKV im Jahr 2022), sodass kein weiterer Herleitungsschritt erforderlich ist.

Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation im Jahr 2022

Bei Betrachtung der 3 verschiedenen Patientenpopulation in den Schritten 5a bis c ergibt sich eine Spanne mit einer Anzahl von 80 bis 369 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation im Jahr 2022.

Schritt 6: Berechnung der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation im Jahr 2025

Der pU ermittelt einen Anteil für die Patientinnen und Patienten der Zielpopulation pro 100 000 erwachsene Personen in der GKV im Jahr 2025. Dazu zieht der pU neben dem oben ermittelten Umfang der Zielpopulation für das Jahr 2022 zusätzlich die Ergebnisse für die Jahre 2018 bis 2021 heran, siehe Spalte 2 in Tabelle 1. Sie wurden weitgehend in Anlehnung an die oben beschriebenen Herleitung mithilfe der Routinedatenanalyse und Literatur ermittelt. Abweichend davon weist der pU für diese Jahre keine Patientenzahlen für Analysepopulation 3 aus [9]. Der Umfang für Analysepopulation 3 wird in der GKV-

Routinedatenanalyse jeweils ab Schritt 3c mit einer Anzahl von < 5 Patientinnen und Patienten ausgewiesen [4].

Anschließend ermittelt der pU für die Jahre 2018 bis 2022 jeweils einen Anteil der Patientinnen und Patienten der Zielpopulation pro 100 000 erwachsene Personen in der GKV (siehe Spalte 3 in Tabelle 1), indem er den Umfang der Zielpopulation auf die jeweiligen Anzahl der erwachsenen Personen in der GKV [4] bezieht. Über die Jahre hinweg bildet er einen mittleren Anteilswert für die Zielpopulation in Höhe von 0,18 bis 0,60 pro 100 000 erwachsene Personen in der GKV (jeweils Mittelwert der Untergrenzen und Obergrenzen der Spannen).

Tabelle 1: Patientinnen und Patienten der GKV-Zielpopulation in den Jahren 2018 bis 2022

Jahr	Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ^a	Anteil der Patientinnen und Patienten der Zielpopulation an 100 000 erwachsenen Personen in der GKV ^a
2018	121–363	0,20–0,59
2019	121–359	0,20–0,58
2020	123–340	0,20–0,55
2021	107–421	0,17–0,68
2022	80–369	0,13–0,59
Mittelwert:		0,18–0,60
a. Angaben aus Modul 3 C. Die untere Grenze basiert auf den Ergebnissen der Analysepopulation 2 und die obere Grenze auf Analysepopulation 1. GKV: gesetzliche Krankenversicherung		

Abschließend schätzt der pU die Anzahl der Erwachsenen in der GKV im Jahr 2025.

Dazu ermittelt er zunächst einen Anteil von 87,76 % der GKV-Versicherten im Jahr 2023 bezogen auf die Gesamtbevölkerung Deutschlands im Jahr 2023 [10,11]. Diesen Anteil überträgt er auf die vorausberechnete Anzahl an Erwachsenen in der deutschen Gesamtbevölkerung im Jahr 2025 gemäß der 15. Koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung (Basis: 31.12.2021) Variante G2L2W2 (moderate Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, der Lebenserwartung des Wanderungssaldos) [12] und berechnet somit eine Anzahl von 61 608 583 erwachsenen Personen in der GKV für das Jahr 2025.

Der pU überträgt die gebildete mittlere Spanne zum Anteil der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (0,18–0,60 pro 100 000 erwachsene Personen in der GKV) auf die erwartete Anzahl der erwachsenen Personen in der GKV im Jahr 2025 (61 608 583). Somit ergibt sich eine Anzahl von 110 bis 368 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation für das Jahr 2025.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Die nachfolgende Bewertung bezieht sich auf die unterschiedlichen Ansätze (Analysepopulationen 1 bis 3) zur Herleitung der GKV-Zielpopulation. Insgesamt sind die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation unsicher und können auch höher liegen als die Obergrenze. Die maßgeblichen Gründe werden nachfolgend erläutert.

Zu Analysepopulation 1

Im Abgleich mit der jeweiligen Herleitung über Analysepopulation 2 und 3 ist diejenige über Analysepopulation 1 am ehesten geeignet zur Ermittlung der GKV-Zielpopulation. Dennoch wird die darüber ermittelte Anzahl (368 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation) als unsicher eingeschätzt.

Zu Schritt 1a: Patientinnen und Patienten mit der Diagnose MPGN

Es ist nicht auszuschließen, dass mit den herangezogenen 14 ICD-GM-Codes zusätzlich Patientinnen und Patienten mit anderen glomerulären Erkrankungen aufgegriffen wurden, die nicht das Anwendungsgebiet von Iptacopan betreffen. Auch mit den nachfolgenden Selektionsschritten 2a bis 4a wird eine Abgrenzung dieser Patientengruppe zu den Patientinnen und Patienten mit MPGN nicht erreicht, da diese Schritte, wie z. B. die Auswahl der Arzneimittel, dafür zu unspezifisch sind.

Zudem ist unklar, wie in der Analyse das zusätzliche Einschlusskriterium „1 ambulante Operation“ im Rahmen der Diagnose aufgegriffen wurde.

Zu Schritt 3a: Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

Der pU greift über die Verordnung verschiedener Wirkstoffe diejenigen Patientinnen und Patienten auf, die eine medikamentöse Behandlung erhalten. Die Empfehlungen der Organisation „Kidney Disease: Improving Global Outcomes“ (KDIGO) erwähnt in diesem Zuge weitere Wirkstoffe wie Tacrolimus, Cyclophosphamid und Rituximab, die für die MPGN eingesetzt werden, aber nicht als Aufgreifkriterien in der Routinedatenanalyse herangezogen wurden. Ebenso fehlen Wirkstoffe, die bei der im Anwendungsgebiet relevanten Teilpopulation (Intoleranz oder Kontraindikation gegenüber RAS-Inhibitoren) als Alternativen für die RAS-Inhibitoren eingesetzt werden. Allerdings wurden nur 3 Personen durch diesen Schritt über die Analyse ausgeschlossen.

Zu Schritt 4a: Patientinnen und Patienten mit Biopsie

Laut pU ist die Rationale dieses Selektionsschrittes, dass eine eindeutige Diagnose der C3G nur über eine Nierenbiopsie gestellt werden kann. Dies ist grundsätzlich nachvollziehbar. Allerdings ist die Nierenbiopsie bei sämtlichen glomerulären Erkrankungen mit nephrotischem Syndrom laut den Empfehlungen der KDIGO der Goldstandard zur Diagnostik [2]. Nur wenn

die Ursache der Erkrankung bei Erwachsenen bekannt ist, kann eine Nierenbiopsie entfallen. Auch den Ausführungen zum Kodiersystem der ICD-10-GM-Codes kann entnommen werden, dass die Subkategorien .0 bis .8 (siehe Schritt 1a: der pU zieht die Subkategorien .5 und .6 heran) normalerweise nur benutzt werden sollten, wenn die morphologischen Veränderungen speziell nachgewiesen wurden z. B. durch Nierenbiopsie [5].

Insgesamt bleibt unklar, wieso ein hoher Anteil an Patientinnen und Patienten aus der Stichprobe der Routinedatenanalyse keinen OPS-Code für eine Biopsie aufweist (siehe Schritt 3a: 35 von 64 Patientinnen und Patienten). Wie der pU selbst anführt, kann nicht ausgeschlossen werden, dass für einige Patientinnen und Patienten die Biopsie länger zurückgelegen haben könnte als ihr individueller Gesamtbeobachtungszeitraum in der Routinedatenanalyse. Auf der anderen Seite ist es möglich, dass in der Versorgungspraxis von den Empfehlungen zur Durchführung einer Biopsie zur Diagnostik abgewichen wird.

Zusammenfassend ist in diesem Schritt von einer potenziellen Unterschätzung auszugehen.

Zu Schritt 5a: Anteil der Patientinnen und Patienten mit C3G

Der Anteilswert der Patientinnen und Patienten mit C3G wurde auf Basis eines Abstracts gewonnen. Aufgrund der fehlenden Beschreibung der eingeschlossenen Patientinnen und Patienten, kann nicht beurteilt werden, ob der gewonnene Anteilswert repräsentativ für die Bestimmung des Anteils von C3G innerhalb der Erkrankungen C3G und immunkomplex-vermittelten MPGN ist. Zudem ist die Übertragbarkeit auf die Population aus Schritt 4a nicht gewährleistet, die wie in Schritt 1a beschrieben, auch Patientinnen und Patienten mit weiteren Erkrankungen der MPGN enthalten kann.

Zu Analysepopulation 2

Die geringe Anzahl der Patientinnen und Patienten (<5), die bereits im ersten Selektionsschritt 1b auf Basis der Routinedatenanalyse aufgegriffen wurde, ist nicht dazu geeignet, eine verlässliche hochgerechnete Schätzung der GKV-Zielpopulation vorzunehmen. Des Weiteren beruht die Selektion in den einzelnen Herleitungsschritten 1b bis 4b ausschließlich auf Annahmen des pU, die aus den Angaben der Analysepopulation 1 gewonnen wurden.

Zu Analysepopulation 3

Analysepopulation 3 wurde zunächst breiter aufgegriffen (siehe Schritt 1c) und später durch eine enge Auswahl von Arzneimitteln in Schritt 3c (Eculizumab, Ravulizumab, Pegcetacoplan, Avacopan) eingegrenzt. Sämtliche herangezogene Arzneimittel haben keine Zulassung für die C3G [13-16]. Der Komplementinhibitor Eculizumab wird zwar in den Empfehlungen KDIGO erwähnt, ist allerdings nur empfohlen bei Patientinnen und Patienten mit moderater bis schwerer C3G und einem progressivem Krankheitsverlauf, die nicht auf andere Therapien

angesprochen haben [2]. Diese Einschränkung findet sich im Anwendungsgebiet von Iptacopan nicht wieder. Die weiteren in der Analyse herangezogenen Wirkstoffe sind in den Empfehlungen der KDIGO nicht erwähnt [2]. Eine Begründung der Auswahl dieser Wirkstoffe fehlt. Sie hatten jedoch scheinbar bis auf Avacopan keine Relevanz für die Selektion.

Die Herleitung der Zielpopulation erscheint somit einerseits zu unspezifisch durch die breite Wahl der Diagnose-Codes und andererseits durch die eng eingegrenzte Wirkstoffauswahl zu einschränkend für eine verlässliche Ermittlung der Zielpopulation.

Gesamtfazit

Der pU gibt eine Anzahl von 110 bis 368 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation an. Von den 3 vom pU gewählten Ansätzen erscheint Ansatz 1 (Obergrenze: 368) am ehesten geeignet zu sein, die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation anzunähern. Dennoch ist auch dieser Ansatz mit Unsicherheit verbunden, da er Überschätzungen wie den Einschluss von Patientinnen und Patienten mit anderen glomerulären Erkrankungen (siehe Schritt 1a) als auch potenzielle Unterschätzungen wie ein unklarer Ausschluss von potenziell relevanten Patientinnen und Patienten (siehe Schritt 4a) beinhaltet. Daher wird die vom pU ausgewiesene Spanne zur GKV-Zielpopulation (110 bis 368 Patientinnen und Patienten) als unsicher bewertet, wobei der Umfang aufgrund der potenziellen Unterschätzung auch höher liegen kann als die Obergrenze.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU ermittelt zunächst die erwarteten Anzahlen der erwachsenen Personen in der GKV für die Jahre 2026 bis 2030 auf die gleiche Weise wie in Herleitungsschritt 6. Anschließend überträgt er darauf jeweils die in Schritt 6 gebildete mittlere Spanne zum Anteil der Patientinnen und Patienten der GKV-Zielpopulation (0,18–0,60 pro 100 000 erwachsene Personen in der GKV). Auf Grundlage dieser Berechnung bleibt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation für Jahre bis 2030 konstant.

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 ^a	Kommentar
Iptacopan	erwachsene Patientinnen und Patienten mit C3G in Kombination mit einem RAS-Inhibitor oder bei Patientinnen und Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist	110–368	Die Angaben des pU sind unsicher und der Umfang der GKV-Zielpopulation kann auch höher liegen als die Obergrenze. <i>Begründung:</i> Von den 3 vom pU gewählten Ansätzen erscheint Ansatz 1 (Obergrenze: 368) am ehesten geeignet zu sein, sich der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation anzunähern. Dennoch ist auch dieser Ansatz mit Unsicherheit verbunden, da er Überschätzungen wie den Einschluss von Patientinnen und Patienten mit anderen glomerulären Erkrankungen als auch potenzielle Unterschätzungen wie ein unklarer Ausschluss von potenziell relevanten Patientinnen und Patienten beinhaltet.
a. Angabe des pU C3G: Komplement-3-Glomerulopathie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RAS: Renin-Angiotensin-System			

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

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

3.2.1 Behandlungsdauer

Da in der Fachinformation [1] keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert 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

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation [1]. Demnach wird Iptacopan 2-mal täglich mit einer Dosis von insgesamt 400 mg (2-mal 200 mg) eingenommen.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Iptacopan geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.04.2025 wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt für Iptacopan keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an. Dies ist nachvollziehbar.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Iptacopan Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 460 510,81 €. Sie bestehen ausschließlich aus Arzneimittelkosten und sind plausibel.

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 € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in €	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in €	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Iptacopan	erwachsene Patientinnen und Patienten mit C3G in Kombination mit einem RAS-Inhibitor oder bei Patientinnen und Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist	460 510,81	0	0	460 510,81	Die Angaben sind plausibel.
a. Angabe des pU C3G: Komplement-3-Glomerulopathie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RAS: Renin-Angiotensin-System						

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU erläutert, dass mit Iptacopan erstmalig eine Therapie speziell für die C3G zugelassen ist, sodass keine Aussagen zu möglichen Versorgungsanteilen gemacht werden können. Es sei zu berücksichtigen, dass aufgrund von Patientenpräferenzen, Präferenzen der behandelnden Ärztin bzw. des behandelnden Arztes, Kontraindikationen und Therapieabbrüchen ggf. nicht alle für eine Therapie mit Iptacopan infrage kommenden Patientinnen und Patienten auch tatsächlich mit Iptacopan behandelt werden.

Der pU geht davon aus, dass eine Therapie mit Iptacopan überwiegend im ambulanten Bereich erfolgen wird.

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 C, Abschnitt 3.6)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, befinden sich in Modul 3 C (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der Kommentar zu den Angaben des pU entfällt, da das zu bewertende Arzneimittel vor dem 01.01.2025 in Verkehr gebracht wurde und somit die Anzahl an Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmern nicht anzugeben ist.

4 Literatur

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

1. Novartis Europharm. Fachinformation FABHALTA 200 mg Hartkapseln. 03.2025.
2. Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) Glomerular Diseases Work Group. KDIGO 2021 Clinical Practice Guideline for the Management of Glomerular Diseases. *Kidney Int* 2021; 100(4s): S1-s276. <https://doi.org/10.1016/j.kint.2021.05.021>.
3. Gesundheitsforen Leipzig, Novartis Pharma. Studienprotokoll zur GKV-Routinedatenanalyse. 2024.
4. Gesundheitsforen Leipzig. Ergebnisse zur GKV-Routinedatenanalyse (Excel-Datei). 2024.
5. Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte. ICD-10-GM Version 2025; Glomeruläre Krankheiten (N00-N08) [online]. 2024 [Zugriff: 21.05.2025]. URL: <https://klassifikationen.bfarm.de/icd-10-gm/kode-suche/htmlgm2025/block-n00-n08.htm>.
6. Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte. Anatomisch-therapeutisch-chemische Klassifikation mit Tagesdosen; Amtliche Fassung des ATC-Index mit DDD-Angaben für Deutschland im Jahre 2022 [online]. 2021 [Zugriff: 16.06.2025]. URL: <https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/DE/Kodiersysteme/ATC/atc-ddd-amtlich-2022.html>.
7. Downward L, Wong K, Proudfoot C et al. Patient Characteristics and Renal Outcomes of C3 Glomerulopathy (C3G) and Immune Complex Membranoproliferative Glomerulonephritis (IC-MPGN) in the UK: A Retrospective Analysis of 287 Patients in the UK National Registry of Rare Kidney Diseases (RaDaR): TH-PO645 [online]. 2023. URL: https://ukkidney.org/sites/renal.org/files/radar/posters/12_ASN%202023%20RaDaR%20ePoster%2023102023.pdf.
8. Spherix Global Insights. Market Dynamix: Complement 3 Glomerulopathy (C3G) (EU5). 2022.
9. Novartis Pharma. Berechnungen zu Abschnitt 3.2 des Moduls 3 für Iptacopan im Anwendungsgebiet C3G. Stand: 04.03.2025. 2025.
10. Bundesministerium für Gesundheit. Tabelle (gestaltbar): GKV-Mitglieder und Mitversicherte Familienangehörige am 1.7 [online]. 2025 [Zugriff: 04.03.2025]. URL: https://www.gbe-bund.de/gbe/lisgbe.indikatoren_set_dim_values.
11. Statistisches Bundesamt. GENESIS-Online - Die Datenbank des Statistischen Bundesamtes: Fortschreibung des Bevölkerungsstandes [online]. 2024 [Zugriff: 15.12.2024]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/genesis/online?>

12. Statistisches Bundesamt. GENESIS-Online - Die Datenbank des Statistischen Bundesamtes: Bevölkerungsvorausberechnungen [online]. 2024 [Zugriff: 15.12.2024]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/genesis/online?>
13. Alexion. Soliris 300mg Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung [online]. 2024 [Zugriff: 09.05.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
14. Alexion. Ultomiris [online]. 2024 [Zugriff: 09.05.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
15. Sobi. ASPAVELI 1 080 mg Infusionslösung [online]. 2024 [Zugriff: 09.05.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
16. Vifor Pharma. Tavneos 10 mg Hartkapseln [online]. 2024 [Zugriff: 09.05.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.

Anhang A Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse

Tabelle 4: Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse (mehrseitige Tabelle)

Klassifikation ^a	Codes ^a	Bezeichnung ^a
ICD-10-GM	N18.5	Chronische Nierenkrankheit, Stadium 5
	Z49.0	Vorbereitung auf die Dialyse
	Z49.1	Extrakorporale Dialyse
	Z49.2	Sonstige Dialyse
	Z99.2	Langzeitige Abhängigkeit von Dialyse bei Niereninsuffizienz
	T82.4	Mechanische Komplikation durch Gefäßkatheter bei Dialyse
	T85.71	Infektion und entzündliche Reaktion durch Katheter zur Peritonealdialyse
OPS	8-853	Hämofiltration
	8-854	Hämodialyse
	8-855	Hämodiafiltration
	8-857	Peritonealdialyse
	5-549.20	Implantation eines Katheterverweilsystems in den Bauchraum, subkutan getunnelt: Zur Peritonealdialyse
	5-549.30	Revision eines Katheterverweilsystems im Bauchraum, subkutan getunnelt: Zur Peritonealdialyse
	5-549.d0	Wechsel eines Katheterverweilsystems im Bauchraum, subkutan getunnelt: Zur Peritonealdialyse
DRG	L90B	Niereninsuffizienz, teilstationär, Alter > 14 Jahre mit Peritonealdialyse
	L02B	Operatives Einbringen eines Peritonealkatheters, Alter > 9 Jahre mit akuter Niereninsuffizienz oder mit chronischer Niereninsuffizienz mit Dialyse
	L02C	Operatives Einbringen eines Peritonealkatheters, Alter > 9 Jahre mit akuter Niereninsuffizienz oder mit chronischer Niereninsuffizienz mit Dialyse oder transurethrale Injektion bei Ostiuminsuffizienz
	L09A	And. Eingriffe bei Erkr. der Harnorg. mit Anl. Dialyseshunt bei akut. Nierenins. od. bei chron. Nierenins. mit Dialyse od. auß. Anl. Dialyseshunt, m. Kalziphylaxie od. best. Laparotomie od. m. kompl. OR-Proz. od. kompl. Eingr., Alt. < 2 J. od. auß. schw. CC
	L09B	Andere Eingriffe bei Erkrankungen der Harnorgane mit Anlage Dialyseshunt bei akuter Niereninsuffizienz od. bei chronischer Niereninsuff. mit Dialyse od. außer Anlage Dialyseshunt, m. Kalziphylaxie od. best. Laparotomie, Alter > 1 Jahr, ohne auß. schw. CC

Tabelle 4: Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse (mehreseitige Tabelle)

Klassifikation ^a	Codes ^a	Bezeichnung ^a
	L09C	Andere Eingriffe bei Erkrankungen der Harnorgane auß. Anlage Dialyseshunt, ohne Kalziphyllaxie, ohne best. Laparotomie, ohne best. Eingriff an Präputium od. Nebenschilddrüse, Alter < 2 J. od. mit auß. schw. CC, ohne kompl. OR-Proz., ohne kompl. Eingriff
	L60B	Niereninsuffizienz, mehr als ein Belegungstag, mit Dialyse und komplizierenden Faktoren oder äußerst schweren CC, Alter > 15 Jahre
	L71Z	Niereninsuffizienz, ein Belegungstag mit Dialyse
EBM	40815	Kostenpauschale für Dialyse bis zum vollendeten 18. Lebensjahr am Wohnort
	40816	Kostenpauschale für Peritonealdialyse bis zum vollendeten 18. Lebensjahr
	40817	Kostenpauschale für Peritonealdialyse bis zum vollendeten 18. Lebensjahr am Wohnort
	40818	Kostenpauschale für Hämodialysen bis zum vollendeten 18. Lebensjahr bei Ferienaufenthalt oder sonstiger Abwesenheit
	40819	Kostenpauschale für Peritonealdialysen bis zum vollendeten 18. Lebensjahr bei Ferienaufenthalt oder sonstiger Abwesenheit
	40823	Kostenpauschale für Dialyse bei Versicherten ab vollendetem 18. Lebensjahr
	40824	Kostenpauschale für Dialyse ab vollendetem 18. Lebensjahr am Wohnort
	40826	Kostenpauschale für Peritonealdialyse bei Versicherten ab vollendetem 18. Lebensjahr am Wohnort
	40827	Kostenpauschale für intermittierende Peritonealdialyse bei Versicherten ab vollendetem 18. Lebensjahr am Wohnort
	40828	Kostenpauschale für Dialyse ab vollendetem 18. Lebensjahr bei Ferien- oder berufsbedingtem Aufenthalt
a. Angaben aus Modul 3 C und Angaben aus dem Studienprotokoll der Routinedatenanalyse [3]. DRG Diagnosis-related Group (diagnosebezogene Fallgruppe); EBM: Einheitlicher Bewertungsmaßstab; 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); OPS Operationen- und Prozedurenschlüssel		

Anhang B ATC- und OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

Tabelle 5: ATC- und OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

ATC-Code ^a	OPS-Code ^a	Wirkstoffe oder Substanzklasse ^a
C09A	-	ACE-Hemmer, rein
C09B	-	ACE-Hemmer, Kombinationen
C09C	-	Angiotensin-II-Rezeptorblocker, rein
C09D	-	Angiotensin-II-Rezeptorblocker, Kombinationen
H02A	-	Corticosteroide zur systemischen Anwendung, rein
L04AA06	-	Mycophenolsäure
L04AD01	-	Ciclosporin
L04AA25	6-003.h	Eculizumab
L04AA43	6-00c.d	Ravulizumab
L04AA54	6-00f.3	Pegcetacoplan
L04AA ^b	6-00e.4	Selektive Immunsuppressiva
a. Angaben aus Modul 3 C und Angaben aus dem Studienprotokoll der Routinedatenanalyse [3]. b. Es wurden nur bestimmte Pharmazentralnummern für Avacopan herangezogen. ACE: Angiotensin-Converting-Enzyme; ATC-Code: Anatomisch-therapeutisch-chemischer-Code; OPS Operationen- und Prozedurenschlüssel;		

Anhang C OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie

Tabelle 6: OPS-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie

OPS-Codes ^a	Bezeichnung ^a
1-460.y	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen - Transurethrale Biopsie an Harnorganen und Prostata - N.n.bez.
1-460.x	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen - Transurethrale Biopsie an Harnorganen und Prostata - Sonstige
1-465.y	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Perkutane Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen mit Steuerung durch bildgebende Verfahren - N.n.bez.
1-463.0	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Perkutane (Nadel-)Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Niere
1-463.x	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Perkutane (Nadel-)Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Sonstige
1-463.y	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Perkutane (Nadel-)Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - N.n.bez.
1-465.x	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Perkutane Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen mit Steuerung durch bildgebende Verfahren - Sonstige
1-465.0	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen - Perkutane Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen mit Steuerung durch bildgebende Verfahren - Niere
1-560.0	Biopsie an Harnwegen und männlichen Geschlechtsorganen durch Inzision - Biopsie an Niere und perirenalem Gewebe durch Inzision - Niere
1-846.0	Diagnostische perkutane Punktion von Harnorganen - Niere
1-846.x	Diagnostische perkutane Punktion von Harnorganen - Sonstige
1-846.y	Diagnostische perkutane Punktion von Harnorganen – N.n.bez.
a. Angaben aus Modul 3 C	
OPS: Operationen- und Prozedurenschlüssel	

Anhang D 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
Wanner, Christoph	ja	ja	ja	ja	nein	nein	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?