

Beremagen geperpavec (dystrophe Epidermolysis bullosa)

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 background.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G25-25

Version: 1.0

Stand: 06.11.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2130

DOI: 10.60584/G25-25

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Beremagen geperpavec (dystrophe Epidermolysis bullosa) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

15.08.2025

Interne Projektnummer

G25-25

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-25>

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. Beremagen geperpavec (dystrophe Epidermolysis bullosa); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-25>.

Schlagwörter

Beremagen geperpavec, Epidermolysis Bullosa Dystrophica, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Beremagene geperpavec, Epidermolysis Bullosa Dystrophica, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Dr. Heiko Traupe, Klinik für Hautkrankheiten des Universitätsklinikums Münster (UKM)

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

- Yvonne Zens
- Christopher Kunigkeit
- Torben Lütkehermölle
- Betül Özdemir-Basat
- Anja Schwalm

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abbildungsverzeichnis	vi
Abkürzungsverzeichnis.....	vii
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 A, 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.....	5
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	7
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	7
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	7
3.2.1 Behandlungsdauer.....	8
3.2.2 Verbrauch	8
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	8
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	8
3.2.5 Jahrestherapiekosten	8
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	9
3.2.7 Versorgungsanteile.....	10
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)	10
4 Literatur	11
Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen	13

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	7
Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	9

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
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

Beremagen geperpavec wird angewendet zur Wundbehandlung bei Patientinnen und Patienten ab der Geburt mit dystropher Epidermolysis bullosa (DEB) mit Mutation(en) im Gen für die Alpha-1-Kette von Kollagen Typ VII (COL7A1).

1.2 Verlauf des Projekts

Beremagen geperpavec 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)
- Kosten der Therapie für die GKV
- Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.08.2025 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.

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dokuments angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

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

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 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

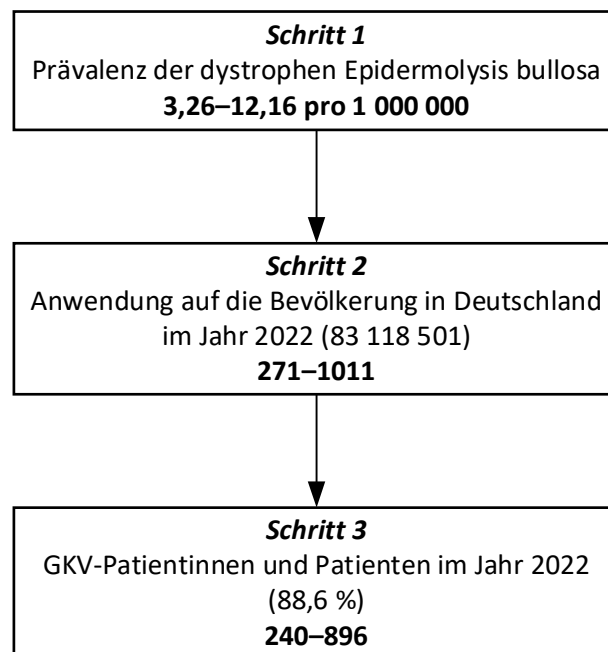
Die dystrophe Epidermolysis bullosa stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation [1]. Demnach ist Beremagen geperpavec zur Wundbehandlung bei Patientinnen und Patienten ab der Geburt mit dystropher Epidermolysis bullosa (DEB) mit Mutation(en) im Gen für die Alpha-1-Kette von Kollagen Typ VII (COL7A1) zugelassen [1].

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 GKV-Zielpopulation über 3 Schritte, die in Abbildung 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.



Angabe der Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Schriftstärke fett
GKV: gesetzliche Krankenversicherung

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

Schritt 1: Prävalenz der dystrophen Epidermolysis bullosa

Für die Schätzung der Prävalenz der dystrophen Epidermolysis bullosa greift der pU auf die beiden Publikationen Fine 2016 [2] und Has et al. 2023 [3] zurück.

Der Wert für die untere Grenze der Prävalenzrate lässt sich der vom pU angeführten Publikation von Fine 2016 [2] entnehmen. Diese basiert auf den Daten des nationalen Epidermolysis-bullosa-Registers in den USA und beinhaltet Schätzungen unter anderem zur Prävalenz der Erkrankung und ihrer Subtypen. Die Grundlage bilden Daten von mehr als 3000 Patientinnen und Patienten, die im Jahr 2002 zur Prävalenzbestimmung herangezogen wurden [2].

Der Wert für die obere Grenze der Prävalenzrate lässt sich der Publikation von Has et al. 2023 [3] entnehmen. Dieser liegen Daten zu insgesamt 1779 Patientinnen und Patienten mit Epidermolysis bullosa aus dem deutschen Versorgungskontext zugrunde, die über Universitätskrankhäuser, Laboratorien und die Patientenorganisation „Interessengemeinschaft Epidermolysis bullosa e. V. Debra Deutschland“ identifiziert wurden [3]. Die Datenerhebung fand in der Zeit vom 01.10.2020 bis zum 15.05.2021 statt [3].

Der pU leitet auf der Basis dieser beiden Publikationen somit eine Spanne der Prävalenzrate von 3,26/1 000 000 Personen [2] bis 12,16/1 000 000 Personen [3] ab.

Schritt 2: Anwendung auf die Bevölkerung in Deutschland im Jahr 2022

Der pU zieht den vom Statistischen Bundesamt für Deutschland zum 19.11.2024 für das Jahr 2022 angegebenen Bevölkerungsstand von 83 118 501 Personen heran, der auf den Ergebnissen der Bevölkerungsfortschreibung auf Grundlage des Zensus 2022 basiert [4].

Durch Multiplikation mit der in Schritt 1 abgeleiteten Spanne der Prävalenzrate berechnet der pU eine Anzahl von 271 bis 1011 Patientinnen und Patienten mit dystropher Epidermolysis bullosa in Deutschland im Jahr 2022.

Schritt 3: Patientinnen und Patienten in der GKV

Unter Berücksichtigung eines GKV-Anteils von 88,6 % [4,5] im Jahr 2022 weist der pU eine Anzahl von 240 bis 896 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation aus.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Insgesamt ist die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation auf Grundlage der von ihm in Modul 3 A hierzu zitierten und in der Bewertung herangezogenen Quellen in der Größenordnung plausibel. Folgende Aspekte sind jedoch zu berücksichtigen:

Zu Schritt 1: Prävalenz der dystropen Epidermolysis bullosa

Der pU hat die in den Publikationen Fine 2016 [2] und Has et al. 2023 [3] genannten Werte für die Bestimmung der Spanne der Prävalenzrate der dystropen Epidermolysis bullosa herangezogen.

Die zugrunde liegende Prävalenzberechnung aus Fine 2016 [2] basiert auf vergleichsweise alten Daten (Zeitpunkt der Prävalenzbestimmung: 01/2002) und ist im Kontext damaliger diagnostischer Verfahren und Kriterien zu sehen. Vor diesem Hintergrund ist unklar, ob die in der Publikation genannte Prävalenzrate auch für das Jahr 2022 angenommen werden kann. Gegenüber der Publikation von Fine 2016 [2], stehen mit der Publikation von Has et al. 2023 [3] Daten für den deutschen Versorgungskontext zur Verfügung. Anders als in den USA, stand den Autorinnen und Autoren der Publikation Has et al. 2023 jedoch kein Register als Datenbasis zur Verfügung [3]. Der Publikation ist zu entnehmen, dass damit einhergehenden Problemen wie insbesondere der Untererfassung von Fällen, in den statistischen Analysemethoden Rechnung getragen wurde [3]. Der Einschätzung der Autorengruppe folgend, sind die Ergebnisse zur Prävalenzschätzung vor diesem Hintergrund als Obergrenze zu verstehen [3].

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

Im Rahmen des früheren Nutzenbewertungsverfahrens zu Birkenrindenextrakt (Epidermolysis bullosa) aus dem Jahr 2022 [6-8] wurde eine Anzahl von ca. 270 bis 860 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation beschlossen. Von dem früheren Anwendungsgebiet unterscheidet sich das vorliegende — neben der Zulassung ab Geburt anstelle von ab einem Alter von 6 Monaten — dahin gehend, dass es ausschließlich die dystrophe und nicht zusätzlich die junctionale Epidermolysis bullosa umfasst. Eine entsprechende Berücksichtigung in der Herleitung der Patientenzahlen durch den pU im aktuellen Verfahren ist erfolgt.

Während die herangezogene Quelle für die untere Grenze der Prävalenzrate identisch ist (Fine 2016 [2]), unterscheidet sich jedoch die Quelle für die korrespondierende obere Grenze. Dabei ergibt sich gegenüber der hierfür zuvor verwendeten Quelle (Petrof 2022 [9]) aus der Publikation Has et al. 2023 [3] im vorliegenden Verfahren für die Epidermolysis bullosa insgesamt als auch für die dystrophe Epidermolysis bullosa im Speziellen eine höhere Prävalenzrate in der Obergrenze. In der Gesamtschau erklären sich hierüber die vom pU hergeleitete einerseits niedrigere Anzahl in der Untergrenze und andererseits höhere Anzahl an Personen in der Obergrenze. Gegenüber dem früheren Nutzenbewertungsverfahren liegen zumindest für die Obergrenze Daten aus dem deutschen Versorgungskontext zugrunde.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Da es sich bei der dystrophischen Epidermolysis bullosa um eine genetische Erkrankung handelt, geht der pU von einer gleichbleibenden Inzidenz- und Prävalenzrate innerhalb der nächsten 5 Jahre aus. Der pU ermittelt somit die Anzahl der Patientinnen und Patienten mit dystropher Epidermolysis bullosa für die Jahre 2023 bis 2030 anhand der bereits in Abschnitt 3.1.2.1 zu Schritt 1 angegebenen Prävalenzraten von 3,26/1 000 000 Personen für die untere und 12,16/1 000 000 Personen für die obere Grenze und der vom Statistischen Bundesamt vorausgerechneten Bevölkerungszahlen für die Jahre 2023 bis 2030 [10]. Diese basieren auf den Ergebnissen der 15. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung (Basis: 31.12.2021), Variante G2-L2-W2 (Auswirkungen einer moderaten Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, der Lebenserwartung und des Wanderungssaldos). Der pU geht somit davon aus, dass die Anzahl der Patientinnen und Patienten mit dystropher Epidermolysis bullosa sowie der gesetzlich Versicherten innerhalb der Zielpopulation (bei Anwendung der Anteilswerte aus der Herleitung) bis zum Jahr 2030 weitgehend konstant bleibt (Fallzahlen in der GKV-Zielpopulation: 244 bis 910 im Jahr 2023 und 246 bis 917 im Jahr 2030).

3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Beremagen geperpavec	Patientinnen und Patienten mit kutanen Wunden im Zusammenhang mit dystropher Epidermolysis bullosa mit Mutation(en) im Gen für die Alpha-1-Kette von Kollagen Typ VII	240–896	Die Angabe ist in der Größenordnung plausibel.
a. Angabe des pU 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.

Der pU gibt an, dass sich der Verbrauch von Beremagen geperpavec nach dem Ausmaß behandlungsbedürftiger Wunden richtet, die Jahrestherapiekosten daher patientenindividuell unterschiedlich und somit nicht quantifizierbar sind.

Vor dem Hintergrund der laut Fachinformation [1] gegebenen Dauer der Haltbarkeit und des damit einhergehenden Verwurfs je Anwendung sowie der geltenden maximalen wöchentlichen Gesamtdosierung wäre die Berechnung einer Obergrenze jedoch möglich. Die sich hieraus ergebenden eigenen Berechnungen werden nachfolgend ergänzend dargestellt.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Beremagen geperpavec entsprechen der Fachinformation [1]. Demnach ist Beremagen geperpavec wöchentlich auf Wunden zu applizieren, bis sie sich geschlossen haben. Dabei ist die Behandlung auf eine maximale wöchentliche Gesamtdosis beschränkt. Da in der Fachinformation [1] keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert ist, wird in der vorliegenden Bewertung – zur Ermittlung der Obergrenze – rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Behandlungsdauer patientenindividuell unterschiedlich ist. Bei Berechnung der Anzahl der Behandlungswochen auf 1 Nachkommastelle gerundet und auf Grundlage von 365 Tagen pro Jahr ergibt sich eine maximale Anzahl von 52,1 Behandlungstagen pro Jahr.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch von Beremagen geperpavec entsprechen weitgehend der Fachinformation [1].

Ausgehend von dem durch den pU korrekt in diesem Zusammenhang benannten Verwurf je Anwendung, ist in Kombination mit der in der Fachinformation formulierten Beschränkung auf eine maximale wöchentliche Gesamtdosis [1] darüber hinaus die Ableitung eines maximalen Jahresverbrauchs pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 52,1 Durchstechflaschen Suspension und Gel zur Herstellung eines Gels möglich.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Beremagen geperpavec geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.08.2025, der erstmaligen Listung, wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt korrekt an, dass der Fachinformation [1] keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen zu entnehmen sind.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU gibt an, dass aufgrund des individuellen Verbrauchs die Jahrestherapiekosten patientenindividuell unterschiedlich sind.

Unter Berücksichtigung der laut Fachinformation [1] gegebenen Dauer der Haltbarkeit und des damit einhergehenden Verwurfs je Anwendung sowie der geltenden maximalen wöchentlichen Gesamtdosierung (siehe Abschnitt 3.2.2), ist jedoch eine Obergrenze für die Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 1 488 641,84 € ableitbar.

3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 2: 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 € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Beremagen geperpavec	Patientinnen und Patienten mit kutanen Wunden im Zusammenhang mit dystropher Epidermolysis bullosa mit Mutation(en) im Gen für die Alpha-1-Kette von Kollagen Typ VII	patienten-individuell unterschiedlich	0	0	patienten-individuell unterschiedlich	Die Kosten sind patientenindividuell unterschiedlich. Die Berechnung einer Obergrenze wäre angesichts der in der Fachinformation [1] dokumentierten Dauer der Haltbarkeit und der maximalen wöchentlichen Gesamtdosis möglich.
a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU erläutert, dass es sich bei der dystrophischen Epidermolysis bullosa um eine im klinischen Erscheinungsbild heterogene Erkrankung handelt und daher nicht alle Betroffenen in gleichem Ausmaß behandlungsbedürftig sind. Ein konkreter Versorgungsanteil kann laut pU aufgrund der patientenindividuellen Unterschiede nicht sinnvoll geschätzt werden.

Der pU macht Angaben zu Kontraindikationen und geht nicht davon aus, dass Patientinnen und Patienten aufgrund von Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder dem Trärgel von einer Behandlung mit Beremagen geperpavec auszuschließen sind. Vielmehr nimmt er an, dass Beremagen geperpavec aufgrund seines Wirkprinzips gegenüber den bisher lediglich verfügbaren Therapieansätzen im Sinne einer Best supportive Care von den Betroffenen präferiert werden wird.

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, 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 A (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der pU liefert Angaben zu insgesamt 3 Studien. Er gibt über alle relevanten Studien den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V mit 0 % an. Diese Angabe ist nachvollziehbar.

4 Literatur

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

1. Krystal Biotech Netherlands. Vyjuvek 5×10^9 Plaque-bildende Einheiten/ml Suspension und Gel zur Herstellung eines Gels [online]. 04.2025 [Zugriff: 06.10.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
2. Fine JD. Epidemiology of Inherited Epidermolysis Bullosa Based on Incidence and Prevalence Estimates From the National Epidermolysis Bullosa Registry. JAMA Dermatol 2016; 152(11): 1231–1238. <https://doi.org/10.1001/jamadermatol.2016.2473>.
3. Has C, Hess M, Anemüller W et al. Epidemiology of inherited epidermolysis bullosa in Germany. J Eur Acad Dermatol Venereol 2023; 37(2): 402–410. <https://doi.org/10.1111/jdv.18637>.
4. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung nach Altersgruppen [online]. 2024 [Zugriff: 19.11.2024]. URL: <https://www.destatis.de>.
5. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung; Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand; Jahresdurchschnitt 2022 [online]. 2023 [Zugriff: 19.11.2024]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_JD_2022_1_bf.pdf.
6. Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V); Birkenrindenextrakt (Wundbehandlung bei Epidermolysis bullosa (ab 6 Monaten)) [online]. 2023 [Zugriff: 22.02.2023]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5878/2023-02-16_AM-RL-XII_Birkenrindenextrakt_D-862.pdf.
7. Gemeinsamer B. Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V); Birkenrindenextrakt (Wundbehandlung bei Epidermolysis bullosa (ab 6 Monaten)) [online]. 2023 [Zugriff: 22.02.2023]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/40-268-9274/2023-02-16_AM-RL-XII_Birkenrindenextrakt_D-862_TrG.pdf.
8. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Birkenrindenextrakt (Epidermolysis bullosa) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2022 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/g22-30_birkenrindenextrakt_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf.

9. Petrof G, Papanikolaou M, Martinez AE et al. The epidemiology of epidermolysis bullosa in England and Wales: data from the national epidermolysis bullosa database. Br J Dermatol 2022; 186(5): 843–848. <https://doi.org/10.1111/bjd.20958>.

10. Statistisches Bundesamt. Datenbankabfrage: Vorausberechneter Bevölkerungsstand: Deutschland, Stichtag, Varianten der Bevölkerungsvorausberechnung, Geschlecht, Altersjahre [online]. 2025 [Zugriff: 06.10.2025]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/statistic/12421/table/12421-0002>.

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
Traupe, Heiko	ja	ja	nein	nein	nein	ja	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?