

Pegcetacoplan (Komplement-3-Glomerulopathie)

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

A horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey, located below the title and above the footer. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue background that spans most of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G26-03

Version: 1.0

Stand: 12.05.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2237

DOI: 10.60584/G26-03

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

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

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

11.02.2026

Interne Projektnummer

G26-03

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G26-03>

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: info@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Pegcetacoplan (Komplement-3-Glomerulopathie); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G26-03>.

Schlagwörter

Pegcetacoplan, Glomerulonephritis – Membranoproliferative, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Pegcetacoplan, Glomerulonephritis – Membranoproliferative, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Christoph Wanner, Abt. für klinische Studien und Epidemiologie, Deutsches Zentrum für Herzinsuffizienz, Universitätsklinikum Würzburg

Das IQWiG dankt dem medizinisch-fachlichen Berater für seinen Beitrag zur Dossierbewertung. Der Berater erhielt jedoch keine Einsicht in das Dossier des pU und war nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

Die 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.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Moritz Platen
- Christiane Balg
- Stefan Kobza
- Anja Schwalm

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abbildungsverzeichnis	vi
Abkürzungsverzeichnis.....	vii
1 Hintergrund.....	1
2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	2
2.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 C, Abschnitt 3.2)	2
2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	2
2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	2
2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	8
2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	12
2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	12
2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 C, Abschnitt 3.3) ..	12
2.2.1 Behandlungsdauer.....	13
2.2.2 Verbrauch	13
2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	13
2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	13
2.2.5 Jahrestherapiekosten	13
2.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	14
2.2.7 Versorgungsanteile.....	15
3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 C, Abschnitt 3.6)	16
4 Literatur	17
Anhang A ICD-10-GM-Codes zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit monoklonaler Gammopathie und / oder anderen hämatologischen Malignomen.....	19
Anhang B OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie	20
Anhang C Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse	21
Anhang D ATC-Codes und OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung	23
Anhang E Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen	24

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	12
Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	14
Tabelle 3: ICD-10-GM-Codes zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit monoklonaler Gammopathie und / oder anderen hämatologischen Malignomen.....	19
Tabelle 4: OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie	20
Tabelle 5: Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse.....	21
Tabelle 6: ATC-Codes und OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung	23

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	3

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
ACE	Angiotensin-konvertierendes Enzym
ATC-Code	Anatomisch-therapeutisch-chemischer-Code
BfArM	Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte
C3G	Komplement-3-Glomerulopathie
CKD	Chronic Kidney Disease (chronische Nierenerkrankung)
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IC	immunkomplexvermittelt
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
RaDaR	UK National Registry of Rare Kidney Diseases
RAS	Renin-Angiotensin-System
SGB	Sozialgesetzbuch
STROSA	Standardisierte Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen
WIG2	Wissenschaftliches Institut für Gesundheitsökonomie und Gesundheitssystemforschung

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) beauftragte das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) 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

Das Dossier wurde dem IQWiG am 11.02.2026 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. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie die Module 1 bis 4 des Dossiers des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

2.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 C, Abschnitt 3.2)

2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

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

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Pegcetacoplan. Demnach wird Pegcetacoplan gemäß dem neu zugelassenen Anwendungsgebiet angewendet zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3G in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System(RAS)-Hemmer, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert [1].

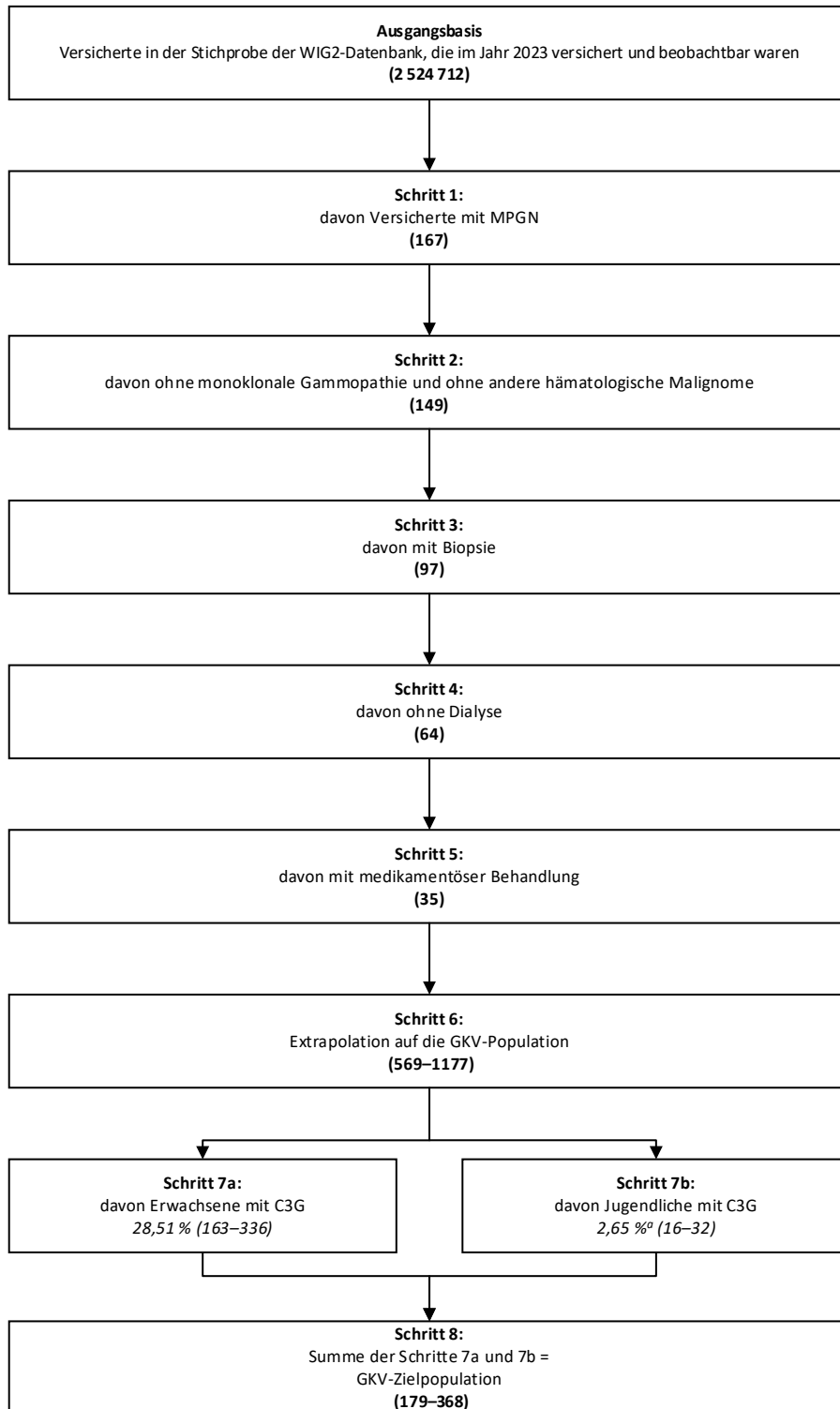
Am 27.04.2026 erfolgte eine Anfrage an das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM). Die Antwort (siehe dazu Abschnitt 2.1.2.2, dort zu Schritt 2) wird in der Bewertung zur Herleitung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation berücksichtigt.

Der pU geht unter Verweis auf ein Beratungsgespräch mit dem G-BA davon aus, dass bei Patientinnen und Patienten im geplanten Anwendungsgebiet eine Verlangsamung der Krankheitsprogression angestrebt wird, sodass eine Nierenersatztherapie in Form von Dialyse oder Transplantation für die Patientinnen und Patienten noch nicht umfasst ist [2].

2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

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



Angabe der Anzahl an Personen für den jeweiligen Schritt in Klammern

a. eigene Berechnung auf Basis von Angaben des pU

C3G: Komplement-3-Glomerulopathie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; MPGN: membranproliferative Glomerulonephritis; pU: pharmazeutischer Unternehmer; WIG2: Wissenschaftliches Institut für Gesundheitsökonomie und Gesundheitssystemforschung

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

Vorbemerkung

In den Herleitungsschritten 1 bis 6 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 („Analysepopulationen A bis C“) an.

Im Abgleich mit der relevanten Patientenpopulation mit C3G nimmt der pU implizit an, dass den jeweiligen Analysepopulationen unterschiedlich breit definierte Patientengruppen zugrunde liegen. Die Analysepopulation A basiert auf einer Patientengruppe mit membrano-proliferativer Glomerulonephritis (MPGN), Analysepopulation B auf einer Patientengruppe mit Dense Deposit Disease und Analysepopulation C auf einer Patientengruppe mit Glomerulonephritiden. Mithilfe von Ein- und Ausschlusskriterien, die Diagnosen, Prozeduren sowie Arzneimittel umfassen, schränkt der pU die Analysepopulationen zunächst innerhalb der Forschungsdatenbank des Wissenschaftlichen Instituts für Gesundheitsökonomie und Gesundheitssystemforschung (WIG2) ein, extrapoliert diese anschließend auf die bundesweite GKV-Population und leitet abschließend mithilfe von Angaben auf Basis einer Datenabfrage des UK National Registry of Rare Kidney Diseases (RaDaR) die Anteile der relevanten Patientenpopulation mit C3G ab.

Die final vom pU ausgewiesene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (179 bis 368 Patientinnen und Patienten) basiert ausschließlich auf der Analysepopulation A, weshalb im Folgenden nur Analysepopulation A dargestellt und bewertet wird.

Ausgangsbasis

Die Grundlage zur Schätzung der Patientenzahlen bildet eine vom pU beauftragte Analyse von GKV-Routinedaten auf Basis der WIG2-Forschungsdatenbank. Die Datenbank enthält anonymisierte Abrechnungsinformationen von ca. 4,5 Millionen GKV-Versicherten zur Inanspruchnahme von stationären und ambulanten Gesundheitsleistungen sowie Arzneimitteln der Jahre 2014 bis 2023.

Die Ausgangsbasis der Referenzpopulation aus der WIG2-Forschungsdatenbank bilden 2 369 174 Erwachsene und 155 538 Jugendliche ab 12 Jahren (insgesamt 2 524 712 Versicherte; eigene Berechnung) des Betrachtungsjahres 2023, die „vor Aufnahme in die Kohorte“ (Wortlaut des pU) mindestens 2 Jahre kontinuierlich beobachtbar waren [3].

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit MPGN

Es wurden Patientinnen und Patienten mit den unten genannten 4-stelligen Codes gemäß ICD-10-GM aufgegriffen, wenn sie im Betrachtungsjahr 2023 mindestens 1 Tag lebten und

beobachtbar waren und ihre Diagnosen zwischen dem 01.01.2016 und 31.12.2023 lagen. Die Diagnosen wurden wie folgt kodiert:

- mindestens 2 ambulante Diagnosen und / oder stationäre Nebendiagnosen der gleichen 3-stelligen Kategorie (übereinstimmende erste 3 Ziffern des ICD-Codes) innerhalb von 4 Quartalen¹ oder
- mindestens 1 stationäre Hauptdiagnose.

Für Erwachsene wurden ausschließlich gesicherte Diagnosen berücksichtigt. Bei Jugendlichen (12 bis 17 Jahre) wurden auch Verdachtsdiagnosen und Zustand-nach-Diagnosen eingeschlossen.

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 [4]. Der Aufgriff von Patientinnen und Patienten mit MPGN, die sowohl immunkomplex- und komplement-vermittelte Formen als auch weitere Formen umfasst [5] , erfolgte entlang der folgenden Subkategorien (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 167 Patientinnen und Patienten selektiert.

¹ Entspricht der Formulierung aus dem Studienbericht der Routinedatenanalyse [3]. Der pU gibt hierzu im Modul 3 C an, dass zur Validierung der Diagnose diese in mindestens 2 Quartalen vorgelegen haben muss. Dies ist dem Studienbericht nicht zu entnehmen.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten ohne monoklonale Gammopathie und ohne andere hämatologische Malignome

Es wurden alle Patientinnen und Patienten ausgeschlossen, bei denen im Vorbeobachtungszeitraum monoklonale Gammopathien und andere hämatologische Malignome dokumentiert wurden. Der pU begründet diesen Schritt damit, dass eine Therapie mit Komplementinhibitoren für Patientinnen und Patienten wie im Fall der monoklonalen Gammopathien nicht infrage kommt. Die verwendeten ICD-10-GM-Codes zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit sekundären Erkrankungen sind in Anhang A dargestellt.

Dadurch wurden 18 Patientinnen und Patienten ausgeschlossen. Es verblieb eine Anzahl von 149 Patientinnen und Patienten.

Schritt 3: Patientinnen und Patienten mit Biopsie

Für die Herleitung der Zielpopulation setzt der pU eine Nierenbiopsie voraus. Diese musste innerhalb von 90 Tagen vor oder nach der ersten Aufgriffdiagnose aus Schritt 1 durchgeführt worden sein. Die herangezogenen Operationen- und Prozedurenschlüssel (OPS) für eine Nierenbiopsie sind in Anhang B dargestellt.

Die verbliebene Anzahl belief sich auf 97 Patientinnen und Patienten.

Schritt 4: Patientinnen und Patienten ohne Dialyse

Es wurden laut pU nur Patientinnen und Patienten berücksichtigt, die im Betrachtungsjahr weder eine Kodierung für eine Dialyse noch zu irgendeinem Zeitpunkt eine Kodierung für eine chronische Nierenerkrankung (CKD) im Stadium 5 aufwiesen. Die hierfür betrachteten Kodierungen sind im Anhang C dargestellt.

Es wurden dadurch 33 Patientinnen und Patienten ausgeschlossen. Damit verblieben 64 Patientinnen und Patienten.

Schritt 5: Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

Der pU geht implizit davon aus, dass er über die bisherigen Schritte nicht nur Patientinnen und Patienten mit MPGN aufgreift. Unter seiner impliziten Annahme, dass alle Patientinnen und Patienten mit MPGN eine medikamentöse Therapie erhalten, wurden in diesem Schritt Patientinnen und Patienten aufgegriffen, für die

- mindestens 2 Verordnungen eines RAS-Inhibitors und zusätzlich entweder² mindestens 2 Verordnungen von Immunsuppressiva innerhalb von 180 Tagen oder mindestens 2

² Entspricht der Formulierung aus dem Studienbericht der Routinedatenanalyse [3]. Die Formulierung des pU im Modul 3 C weicht hiervon insofern ab, dass keine Entweder-Oder-Verknüpfung vorliegt.

Verordnungen von Komplementinhibitoren innerhalb von 180 Tagen (im Fall von Erwachsenen) bzw.

- entweder² mindestens 2 Verordnungen innerhalb von 180 Tagen von RAS-Inhibitoren oder mindestens 2 Verordnungen von Immunsuppressiva innerhalb von 180 Tagen oder mindestens 2 Verordnungen von Komplementinhibitoren innerhalb von 180 Tagen (im Fall von Jugendlichen im Alter von 12 bis 17 Jahren) kodiert wurden.

Der pU begründet dies damit, dass eine medikamentöse Therapie mit RAS-Hemmern in Kombination mit immunsuppressiven Therapeutika laut Leitlinie der Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) [6] empfohlen wird.

Dafür berücksichtigt er folgende Wirkstoffe (siehe Anhang D zu den herangezogenen Anatomisch-therapeutisch-chemischen-Codes [ATC-Codes]³ sowie OPS):

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

Somit verblieben 35 Patientinnen und Patienten.

Schritt 6: Extrapolation auf GKV-Population

In diesem Schritt rechnet der pU die in den WIG2-Daten identifizierten Patientinnen und Patienten auf die GKV-Population hoch. Zunächst wurden die aus Schritt 5 ermittelten Patientinnen und Patienten analog zu den Gruppen der KM6-Statistik der GKV für das Jahr 2023 in 34 Alters- und Geschlechtsgruppen eingeteilt. Da die KM6-Statistik die Altersgruppe der 15- bis unter 20-Jährigen zusammenfasst, wurden die Patientinnen und Patienten mit dem Faktor 0,4 multipliziert, um die Anzahl der 18- und 19-Jährigen zu schätzen. Laut pU erfolgte daraufhin eine Hochrechnung entsprechend einer direkten Alters- und Geschlechtsstandardisierung getrennt nach Alters- und Geschlechtsgruppen und eine anschließende Aggregation der Ergebnisse.

Dem Vorgehen entsprechend ergibt sich als 95 %-Konfidenzintervall eine Anzahl von 569 bis 1177 Patientinnen und Patienten in der GKV-Population.

³ Die Erstellung der Dossierbewertung erfolgte unter Verwendung der Datenträger der amtlichen Fassung der ATC-Klassifikation mit definierten Tagesdosen des BfArM. Als Datengrundlage dienten die Versionen der Jahre 2023 und 2026 [7,8].

Schritt 7: Patientinnen und Patienten mit C3G

Der pU nimmt implizit an, dass über die vorausgegangenen Schritte Patientinnen und Patienten mit MPGN aufgegriffen wurden. Diese Erkrankungen umfassen sowohl immunkomplex- und komplement-vermittelte als auch weitere Formen der MPGN. Zur Ermittlung des Anteils der Patientengruppe mit C3G zieht der pU eine Auswertung von Daten des RaDaR heran, die in Teilen im Studienbericht [3] dargestellt ist. Dem RaDaR können Angaben zu insgesamt 947 aktiven Patientinnen und Patienten (zum Zeitpunkt des Datenexports vom 05.11.2025 lebend und mit gültiger Einverständniserklärung) mit verschiedenen Ablagerungsmustern der MPGN (C3G, immunkomplexvermittelte [IC] MPGN und C3G / MPGN „nicht anders spezifiziert“) entnommen werden.

Schritt 7a: Erwachsene mit C3G

Gemäß der RaDaR-Kohorte beläuft sich die Anzahl an Patientinnen und Patienten mit C3G an der MPGN-Population auf 270, was einem Anteil von 28,51 % entspricht. Auf Grundlage der in Schritt 6 hergeleiteten Zahlen ermittelt der pU demnach eine Anzahl von 163 bis 336 erwachsenen Patientinnen und Patienten mit C3G.

Schritt 7b: Jugendliche mit C3G

Entsprechend dem Datenexport aus dem RaDaR sind von den 270 Patientinnen und Patienten mit C3G 247 Erwachsene sowie 23 pädiatrische Patientinnen und Patienten. Unter Bezug auf die 247 Erwachsenen ermittelt der pU für die Jugendlichen einen Anteil von 9,31 % ($= 23 \div 247$). Demnach schätzt der pU die Anzahl auf 16 bis 32 jugendliche Patientinnen und Patienten in der GKV. In Hinblick auf Schritt 6 (569 bis 1177 Patientinnen und Patienten) entspricht dies nach eigener Berechnung einem Anteil von 2,65 %.

Schritt 8: GKV-Zielpopulation

Die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation bildet der pU aus der Summe der äußeren Grenzen der jeweiligen Spanne aus Schritt 7a bzw. 7b. Dies ergibt eine Anzahl von 179 bis 368 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist rechnerisch weitgehend nachvollziehbar. Insgesamt ist die vom pU berechnete Patientenzahl mit Unsicherheit behaftet. Nachfolgend werden die maßgeblichen Gründe für diese Bewertung näher erläutert.

Es ist allgemein anzumerken, dass für eine transparente Darstellung von Routinedatenanalysen eine Orientierung an Berichtsstandards wie z. B. der standardisierten Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen (STROSA) empfohlen wird [9].

Zu Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit MPGN

Es ist nicht auszuschließen, dass mit den herangezogenen 14 ICD-10-GM-Codes zusätzlich Patientinnen und Patienten mit anderen glomerulären Erkrankungen aufgegriffen wurden, die keine MPGN darstellen. Auch mit den nachfolgenden Selektionsschritten 2 bis 5 wird eine Abgrenzung dieser Patientengruppe zu den Patientinnen und Patienten mit MPGN nicht erreicht, da diese Schritte dafür zu unspezifisch sind.

Der pU greift sämtliche Patientinnen und Patienten mit einer Diagnose ab 2016 auf. Zwar ist dies für Patientinnen und Patienten mit primärer C3G unkritisch, da für sie von einem progredienten Verlauf ausgegangen wird und somit die Diagnose auch im relevanten letzten Betrachtungsjahr vorgelegen haben sollte. Jedoch können durch das Vorgehen des pU teilweise auch Patientinnen und Patienten mit einer Erkrankung aufgegriffen worden sein, die keine progrediente MPGN war und die – infolge einer erfolgreichen Behandlung – nicht mehr im Betrachtungsjahr vorlag. Zumindest ein Teil dieser Patientinnen und Patienten hätte durch eine Einschränkung auf Patientinnen und Patienten, deren MPGN im Betrachtungsjahr vorlag, ausgeschlossen werden können. Aus den vom pU mitgelieferten Quellen ist nicht ersichtlich, wie viele Patientinnen und Patienten ohne MPGN im Betrachtungsjahr aufgegriffen wurden.

Für diesen Schritt ist von einer potenziellen Überschätzung auszugehen.

Zu Schritt 2: Patientinnen und Patienten ohne monoklonale Gammopathie und ohne andere hämatologische Malignome

Der Auskunft des BfArM zufolge (siehe Abschnitt 2.1.1) sind Patientinnen und Patienten mit monoklonaler Gammopathie und / oder anderen hämatologischen Malignomen nicht explizit vom Anwendungsgebiet ausgeschlossen. Das BfArM führt ergänzend dazu aus, dass in Anbetracht des Wirkmechanismus von Pegcetacoplan eine Behandlung mit Pegcetacoplan sinnvoll erscheint, wenn Zeichen einer Komplementaktivierung in der Nierenbiopsie / im Blut nachweisbar sind. Daher sind in Schritt 2 nicht alle Patientinnen und Patienten mit monoklonaler Gammopathie und / oder anderen hämatologischen Malignomen auszuschließen.

Zu Schritt 3: Patientinnen und Patienten mit Biopsie

Der pU begründet diesen Selektionsschritt damit, dass eine eindeutige Diagnose der primären C3G nur über eine Nierenbiopsie gestellt werden kann. Dies ist grundsätzlich nachvollziehbar. Laut S3-Leitlinie ist allerdings die Nierenbiopsie bei sämtlichen glomerulären Erkrankungen mit nephrotischem Syndrom der Goldstandard zur Diagnostik [5]. Nur in bestimmten Fallkonstellationen 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 1: 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 [4].

Insgesamt bleibt unklar, wieso ein hoher Anteil an Patientinnen und Patienten aus der Stichprobe der Routinedatenanalyse keinen OPS für eine Biopsie aufweist (siehe Schritt 3: 52 von 149 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. Hinzu kommt, dass nur jene Biopsien berücksichtigt wurden, die innerhalb von 90 Tagen vor bzw. nach der ersten aufgegriffenen Diagnose kodiert wurden. Auf der anderen Seite ist es möglich, dass in der Versorgungspraxis von den Empfehlungen zur Durchführung einer Biopsie zur Diagnostik abgewichen wird.

Zu Schritt 4: Patientinnen und Patienten ohne Dialyse

Laut pU sind dialysepflichtige Patientinnen und Patienten nicht Teil des Anwendungsgebiets, da sich die therapeutische Zielsetzung für Patientinnen und Patienten des Anwendungsgebiets deutlich von jener für Patientinnen und Patienten mit terminalem Nierenversagen unterscheidet. Dies ist grundsätzlich nachvollziehbar.

Jedoch lassen sich die Angaben des pU zum Zeitraum für die Kodierungen der Dialyse bzw. der CKD (Stadium 5) nicht dem Studienbericht zur Routinedatenanalyse entnehmen [3].

Zu Schritt 5: Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

Auf Basis der Aufgreifkriterien berücksichtigt der pU nur jene erwachsenen Patientinnen und Patienten, die immunsuppressiv (mit Immunsuppressiva inklusive Komplementinhibitoren) behandelt wurden. Eine solche Behandlung ist jedoch nicht für alle erwachsenen Patientinnen und Patienten des Anwendungsgebiets zwingend erforderlich. Der S3-Leitlinie lässt sich beispielsweise entnehmen, dass bei der C3G eine immunsuppressive Therapie ab einem bestimmten Grenzwert einer Proteinurie und bei einer Hämaturie empfohlen wird [5]. Die Empfehlungen der KDIGO erwähnen über die in der Routinedatenanalyse zugrunde gelegten Wirkstoffe hinaus weitere Wirkstoffe wie Tacrolimus, Cyclophosphamid und Rituximab, die für die MPGN eingesetzt werden [6], aber nicht als Aufgreifkriterien in der Routinedatenanalyse herangezogen wurden.

In Bezug auf Erwachsene wurden ausschließlich Patientinnen und Patienten aufgegriffen, die mindestens 2 Verordnungen eines RAS-Inhibitors erhielten. Wie der pU selber angibt, bleiben dadurch erwachsene Patientinnen und Patienten mit Intoleranz oder Kontraindikation gegenüber RAS-Inhibitoren unberücksichtigt, obwohl diese auch Teil des Anwendungsgebiets sind. Ebenso fehlen Wirkstoffe, die bei der im Anwendungsgebiet relevanten Teilpopulation (Intoleranz oder Kontraindikation gegenüber RAS-Inhibitoren) als Alternativen für die RAS-Inhibitoren eingesetzt werden.

Es ist daher in diesem Schritt von einer Unterschätzung auszugehen.

Zu Schritt 7: Patientinnen und Patienten mit C3G

Zu Schritt 7a: Erwachsene mit C3G

Die Übertragbarkeit des in Schritt 7 ermittelten Anteilswerts auf die Anzahl der Patientinnen und Patienten in Schritt 6 ist mit Unsicherheit behaftet. Dies resultiert u. a. daraus, dass die Population in Schritt 6 nicht eindeutig auf Patientinnen und Patienten mit MPGN eingegrenzt ist (siehe dazu Bewertung zu Schritt 1). Darüber hinaus nimmt der pU an, dass der Anteil von C3G-Patientinnen und -Patienten an allen MPGN-Fällen innerhalb der RaDaR-Kohorte auf den Anteil innerhalb der GKV-Population übertragbar ist. Allerdings fehlen Angaben zur RaDaR-Population. So ist nicht bekannt, ob die RaDaR-Population die entsprechenden Merkmale aufweist, die als Kriterien zur Eingrenzung der MPGN-Patientinnen und -Patienten in den jeweiligen Herleitungsschritten herangezogen wurden. Dies betrifft insbesondere den Ausschluss von dialysepflichtigen bzw. sich im CKD-Stadium 5 befindenden Patientinnen und Patienten.

Anhand der Ein- und Ausschlusskriterien für die MPGN-Kohorte des RaDaR ist ferner Folgendes ersichtlich: Die MPGN-Population, aus der der pU den Anteilswert für C3G ermittelt, umfasst überwiegend primäre Erkrankungsfälle, d. h. MPGN ohne sekundäre Ursache. Die Zielpopulation umfasst jedoch auch Fälle mit sekundärer Ursache (siehe auch Bewertung zu Schritt 2), sodass die Übertragbarkeit des Anteilswerts unklar ist.

Zudem bestimmt der pU den Anteilwert auf Basis von 270 Patientinnen und Patienten mit C3G, die nicht auf Erwachsene beschränkt waren. Die Anteilsbestimmung auf Basis erwachsener Patientinnen und Patienten mit C3G (n = 247) wäre angemessener gewesen.

Zu Schritt 7b: Jugendliche mit C3G

Auch zur Bestimmung des Anteils der jugendlichen Patientinnen und Patienten zieht der pU die Patientenzahlen aus dem RaDaR heran. Hierfür setzt der pU die Anzahl pädiatrischer Patientinnen und Patienten mit C3G ins Verhältnis zur Anzahl erwachsener Patientinnen und Patienten mit C3G. Es besteht Unsicherheit, da neben der fraglichen Übertragbarkeit auf den deutschen Versorgungskontext zudem unklar ist, inwiefern die Anzahl pädiatrischer Patientinnen und Patienten tatsächlich nur Jugendliche im Alter von 12 bis 17 Jahren umfasst. Darüber hinaus ist nicht nachvollziehbar, dass der pU den Quotienten aus 247 Erwachsenen und 23 pädiatrischen Patientinnen und Patienten bildet und das Ergebnis (9,31 %) auf Erwachsene anwendet, denn die Erwachsenen umfassen keine pädiatrischen Patientinnen und Patienten. Es wäre – bei den weiterhin bestehenden oben angegebenen Unsicherheiten – angemessener gewesen, den Quotienten aus 947 Patientinnen und Patienten mit MPGN und davon 23 pädiatrischen Patientinnen und Patienten mit C3G zu bilden und das Ergebnis (2,43 %; eigene Berechnung) auf die Patientenzahl aus Schritt 6 anzuwenden.

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

Für C3G steht ein früheres Verfahren zu Iptacopan aus dem Jahr 2025 / 2026 zur Verfügung [10], dessen Zielpopulation jedoch ausschließlich erwachsene Patientinnen und Patienten umfasst. Im Dossier zu Iptacopan wurde für die GKV-Zielpopulation eine Anzahl von 112 bis 230 erwachsenen Patientinnen und Patienten geschätzt [11]. Die Obergrenze wurde auf Basis einer Patientengruppe mit MPGN mithilfe von GKV-Routinedaten ermittelt, die mit der aktuellen Herleitung teilweise vergleichbar ist. Die Angabe der Untergrenze wurde als unsicher bewertet; die Anzahl der Obergrenze konnte tendenziell höher liegen [10]. Die vom pU ermittelte GKV-Zielpopulation für Pegcetacoplan liegt mit einer Anzahl von 179 bis 368 Patientinnen und Patienten höher und umfasst auch Jugendliche.

Beide ausgewiesenen Spannen sind mit teilweise ähnlichen Unsicherheiten verbunden. Aufgrund des breiter gefassten Anwendungsgebiets erscheint es plausibel, dass die hier berichtete Anzahl von Patientinnen und Patienten mit C3G höher ist.

2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU geht von einem leichten Rückgang der Bevölkerung sowie einem leichten Anstieg der diagnostizierten Prävalenz der C3G durch die zunehmende Verfügbarkeit zielgerichteter Therapien sowie einer verbesserten Diagnostik aus. Aufgrund der gegenläufigen Entwicklungen nimmt er an, dass sich die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation in den nächsten 5 Jahren nicht signifikant ändert.

2.1.2.4 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
Pegcetacoplan ^b	erwachsene und jugendliche Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie	179–368	Die Angabe ist unsicher.
a. Angabe des pU b. Pegcetacoplan wird in Kombination mit einem RAS-Hemmer angewendet, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert. GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RAS: Renin-Angiotensin-System			

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

Es wird – wie im Verfahren zu Iptacopan bei Erwachsenen mit C3G [10] – davon ausgegangen, dass die Patientinnen und Patienten eine supportive Therapie der Begleitsymptome (zumindest des Bluthochdrucks und der Ödeme) mit der maximal verträglichen Dosis von ACE-Hemmern / Angiotensin-Antagonisten und – soweit notwendig – mit Diuretika und / oder anderen Blutdrucksenkern erhalten.

2.2.1 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.

2.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation [1].

Demnach wird Pegcetacoplan bei Erwachsenen pro Gabe in einer Dosis von 1080 mg verabreicht. Für Jugendliche von 12 bis 17 Jahren richtet sich der Verbrauch nach dem Körpergewicht.

Unabhängig von Alter und Körpergewicht berücksichtigt der pU für alle Patientinnen und Patienten aufgrund von Verwurf einen tatsächlichen Verbrauch pro Gabe von 1 Durchstechflasche à 1080 mg. Dies ist nachvollziehbar.

2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Pegcetacoplan geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.01.2026 wieder.

2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt an, dass Pegcetacoplan mithilfe einer Spritzeninfusionspumpe verabreicht wird [1]. Laut pU sind die Kosten dafür wegen des vielfältigen Angebotes an Spritzeninfusionspumpen und der regional unterschiedlichen Vereinbarungen bezüglich Hilfsmittellieferverträgen nicht bezifferbar. Der Fachinformation [1] lässt sich neben der vom pU genannten Spritzeninfusionspumpe zudem auch die Möglichkeit der Verabreichung von Pegcetacoplan mittels eines On-Body-Delivery-Systems entnehmen.

2.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Pegcetacoplan Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 362 401,56 €. Sie bestehen ausschließlich aus Arzneimittelkosten, welche plausibel sind. Es entstehen zusätzliche Kosten für die Verabreichung von Pegcetacoplan mithilfe einer Spritzeninfusionspumpe bzw. eines On-Body-Delivery-Systems.

2.2.6 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	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Pegcetacoplan ^{b, c}	erwachsene und jugendliche Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie	362 401,56	0 ^d	0	362 401,56	Die Angabe des pU zu den Arzneimittelkosten ist plausibel. Es entstehen vom pU nicht veranschlagte Kosten für die Verabreichung von Pegcetacoplan mithilfe einer Spritzeninfusionspumpe bzw. eines On-Body-Delivery-Systems.
a. Angabe des pU b. Pegcetacoplan wird in Kombination mit einem RAS-Hemmer angewendet, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert. c. Es wird davon ausgegangen, dass die Patientinnen und Patienten eine supportive Therapie der Begleitsymptome (zumindest des Bluthochdrucks und der Ödeme) mit der maximal verträglichen Dosis von ACE-Hemmern / Angiotensin-Antagonisten und – soweit notwendig – mit Diuretika und / oder anderen Blutdrucksenkern erhalten. Die Kosten dafür sind vom pU nicht dargestellt. d. Davon abweichend gibt der pU in Modul 3 C (Abschnitt 3.3.4) für mehrere Leistungen an, dass die Kosten nicht bezifferbar bzw. nicht quantifizierbar sind (siehe Abschnitt 2.2.4). ACE: Angiotensin-konvertierendes Enzym; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RAS: Renin-Angiotensin-System						

2.2.7 Versorgungsanteile

Der pU erläutert, dass aufgrund von Patientenpräferenzen, Kontraindikationen und Therapieabbrüchen keine genauen Aussagen zu möglichen Versorgungsanteilen gemacht werden können. Er geht davon aus, dass eine Therapie mit Pegcetacoplan überwiegend im ambulanten Bereich erfolgen wird.

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

Ein Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen 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. Swedish Orphan Biovitrum. ASPAVELI 1 080 mg Infusionslösung [online]. 01.2026. URL: www.fachinfo.de.
2. Gemeinsamer Bundesausschuss. Niederschrift zum Beratungsgespräch gemäß § 8 Abs. 1 AM-NutzenV Beratungsanforderung 2025-B-059 vom 23.05.2025.
3. Wissenschaftliches Institut für Gesundheitsökonomie und Gesundheitssystemforschung. Studienbericht: C3G/pIC-MPGN – Epidemiologie und Behandlungslandschaft in Deutschland.
4. Bundeinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte. ICD-10-GM Version 2025; Kapitel XIV; Krankheiten des Urogenitalsystems (N00-N99); Glomeruläre Krankheiten (N00-N08) [online]. 2024 [Zugriff: 07.05.2026]. URL: <https://klassifikationen.bfarm.de/icd-10-gm/kode-suche/htmlgm2025/block-n00-n08.htm>.
5. Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften. S3-Leitlinie zur Diagnose & Therapie von Glomerulonephritiden (S3-GN) [online]. 2025. URL: <https://register.awmf.org/de/leitlinien/detail/090-003>.
6. Kidney Disease: Improving Global Outcomes. 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>.
7. Wissenschaftliches Institut der AOK. Anatomisch-therapeutisch-chemische-Klassifikation mit Tagesdosen; Amtliche Fassung des ATC-Index mit DDD-Angaben für Deutschland im Jahre 2023 [online]. 2022 [Zugriff: 10.03.2026]. URL: <https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/DE/Kodiersysteme/ATC/atc-ddd-amtlich-2023.html>.
8. Wissenschaftliches Institut der AOK. Anatomisch-therapeutisch-chemische-Klassifikation mit Tagesdosen; Amtliche Fassung des ATC-Index mit DDD-Angaben für Deutschland im Jahr 2026 [online]. 2025 [Zugriff: 10.03.2026]. URL: <https://www.bfarm.de/SharedDocs/Downloads/DE/Kodiersysteme/ATC/atc-ddd-amtlich-2026.html>.
9. Swart E, Bitzer EM, Gothe H et al. STandardisierte BerichtsROutine für Sekundärdaten Analysen (STROSA) – ein konsentierter Berichtsstandard für Deutschland, Version 2. Gesundheitswesen 2016; 78(S 01): e145-e160. <https://doi.org/10.1055/s-0042-108647>.
10. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Iptacopan (Komplement-3-Glomerulopathie); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: 16.03.2026]. URL: <https://doi.org/10.60584/a25-157>.

11. Novartis Pharma. Iptacopan (Fabhalta); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2025 [Zugriff: 20.03.2026]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1289/#dossier>.

Anhang A ICD-10-GM-Codes zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit monoklonaler Gammopathie und / oder anderen hämatologischen Malignomen

Tabelle 3: ICD-10-GM-Codes zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit monoklonaler Gammopathie und / oder anderen hämatologischen Malignomen

ICD-10-GM-Code ^a	Bezeichnung ^a
C88.0	Makroglobulinämie Waldenström
C90.0	Multiples Myelom
C91.1	Chronische lymphatische Leukämie vom B-Zell-Typ
D47.2	Monoklonale Gammopathie unbestimmter Signifikanz
D89.1	Kryoglobulinämie
a. Angaben aus Modul 3 C ICD-10-GM: Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation	

Anhang B OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie

Tabelle 4: OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit Biopsie

OPS ^a	Bezeichnung ^a
1-460.x	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen – Transurethrale Biopsie an Harnorganen und Prostata – Sonstige
1-460.y	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Genitalorganen – Transurethrale Biopsie an Harnorganen und Prostata – Nicht näher bezeichnet
1-465.y	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorgane – Perkutane Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen mit Steuerung durch bildgebende Verfahren – Nicht näher bezeichnet
1-463.0	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen – Perkutane (Nadel-)Biopsie an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorgane – Niere
1-463.x	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen – Perkutane (Nadel-)Biopsie an Harnorganen und männlichen Genitalorganen – Sonstige
1-463.y	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen – Perkutane (Nadel-)Biopsie an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorgane – Nicht näher bezeichnet
1-465.x	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen – Perkutane Biopsie an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorgane mit Steuerung durch bildgebende Verfahren – Sonstige
1-465.0	Biopsie ohne Inzision an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen – Perkutane Biopsie an Harnorganen und männlichen Geschlechtsorganen 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 – Nicht näher bezeichnet
a. Angaben aus Modul 3 C	
OPS: Operationen- und Prozedurenschlüssel	

Anhang C Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse

Tabelle 5: Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse (mehreseitige Tabelle)

Klassifikation ^a	Code ^a	Bezeichnung ^a
ICD-10-GM	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
	N18.5	Chronische Nierenerkrankung, Stadium 5
OPS	8-853	Hämofiltration
	8-854	Hämodialyse
	8-855	Hämodiafiltration
	8-857	Peritonealdialyse
	5-549.20	Implantation eines Kathetersystems in die Bauchhöhle, subkutan getunnelt: Für die Peritonealdialyse
	5-549.30	Revision eines Kathetersystems in die Bauchhöhle, subkutan getunnelt: Für die Peritonealdialyse
	5-549.d0	Wechsel eines Kathetersystems in die Bauchhöhle, subkutan getunnelt: Für die Peritonealdialyse
DRG	L90B	Niereninsuffizienz, Tagesklinik, Alter > 14 Jahre mit Peritonealdialyse
	L02B	Chirurgische Einlage eines Peritonealkatheters, Alter > 9 Jahre mit akuter Niereninsuffizienz oder mit chronischer Niereninsuffizienz mit Dialyse
	L02C	Chirurgische Einlage eines Peritonealkatheters, Alter > 9 Jahre mit akuter Niereninsuffizienz oder mit chronischer Niereninsuffizienz mit Dialyse oder transurethrale Injektion bei Ostiuminsuffizienz
	L09A	Sonstige Eingriffe bei Erkrankungen des Harnsystems, die Dialyseshunt für akutes Nierenversagen oder für chronisches Nierenversagen mit Dialyse oder anderen Behandlungen erfordern. Dialyseshunt, mit Kalziumphylaxie oder bestätigter Laparotomie oder mit vollständigem OP-Eingriff oder vollständigem Eingriff, Alter < 2 Jahre oder extern schwerwiegende CC
	L09B	Sonstige Eingriffe bei Erkrankungen der Harnorgane mit Dialyseshunt bei akutem Nierenversagen oder chronischem Nierenversagen mit Dialyse oder ohne Dialyseshunt usw. Kalziophylaxie oder bestätigte Laparotomie, Alter > 1 Jahr, ohne äußerlich schwerwiegende Komplikationen
	L09C	Sonstige Eingriffe bei Erkrankungen der Harnorgane außer der Anlage eines Dialyse-Shunts, ohne Calciphylaxie, ohne spezifische Laparotomie, ohne spezifischen Eingriff an der Vorhaut oder der Nebenschilddrüse, Alter < 2 Jahre oder mit schwerer externer CC, ohne komplexen OP-Eingriff, ohne komplexen Eingriff
	L60B	Niereninsuffizienz, mehr als ein Tag Aufenthalt, mit Dialyse und komplizierenden Faktoren oder extrem schwerem CC, Alter > 15
	L71Z	Niereninsuffizienz, ein Tag Dialyse

Tabelle 5: Kodierungen zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit Dialyse (mehreseitige Tabelle)

Klassifikation ^a	Code ^a	Bezeichnung ^a
EBM	40815	Pauschale für Dialyse bis zum Alter von 18 Jahren am Wohnort
	40816	Pauschale für Peritonealdialyse bis zum Alter von 18 Jahren
	40817	Pauschale für Peritonealdialyse bis zum Alter von 18 Jahren am Wohnort
	40818	Pauschale für Hämodialyse bis zum Alter von 18 Jahren. Lebensjahr während Urlaubsaufenthalt oder sonstiger Abwesenheit
	40819	Pauschale für Peritonealdialyse bis zum Alter von 18 Jahren. Lebensjahr während Urlaubsaufenthalt oder sonstiger Abwesenheit
	40823	Pauschale für Dialyse für Versicherte ab 18 Jahren. Lebensjahr
	40824	Pauschale für Dialyse ab dem 18. Lebensjahr am Wohnort
	40826	Pauschale für die Peritonealdialyse für Versicherte ab 18 Jahren am Wohnort
	40827	Pauschale für die intermittierende Peritonealdialyse für Versicherte ab 18 Jahren an ihrem Wohnort
	40828	Pauschale für Dialyse ab 18 Jahren bei Urlaubs- oder Arbeitsaufenthalten
a. Angaben aus Modul 3 C und Angaben aus dem Studienbericht der Routinedatenanalyse [3] DRG: diagnosebezogene Fallgruppe; EBM: Einheitlicher Bewertungsmaßstab; ICD-10-GM: Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation; OPS: Operationen- und Prozedurenschlüssel		

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

Tabelle 6: ATC-Codes und OPS zur Selektion von Patientinnen und Patienten mit medikamentöser Behandlung

ATC-Code ^a	OPS ^a	Wirkstoffgruppe ^a	Beschreibung ^a
C09A	-	RAS-Hemmer	ACE-Hemmer, rein
C09B	-		ACE-Hemmer, Kombinationen
C09C	-		Angiotensin-II-Rezeptorblocker, rein
C09D	-		Angiotensin-II-Rezeptorblocker, Kombinationen
H02A	-	Immunsuppressiva	Corticosteroide zur systemischen Anwendung, rein
L04AA06	-		Mycophenolsäure
L04AD01	-		Ciclosporin
L04AA	-		Selektive Immunsuppressiva
L04AA25, L04AJ01	6-003.h	Komplementinhibitoren	Eculizumab
L04AA43, L04AJ02	6-00c.d		Ravulizumab
L04AA54, L04AJ03	6-00f.3		Pegcetacoplan
L04AA59, L04AJ05	6-00e.4		Avocapan
L04AA55, L04AJ04	6-00k.4		Sutimlimab
Wird nicht in der Datenbank aufgeführt, zugelassen im Jahr 2024 ^b			Iptacopan
a. Angaben aus Modul 3 C und Angaben aus dem Studienbericht der Routinedatenanalyse [3] b. Wortlaut des pU ACE: Angiotensin-konvertierendes Enzym; ATC-Code: Anatomisch-therapeutisch-chemischer-Code; OPS: Operationen- und Prozedurenschlüssel			

Anhang E 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?