

G-BA-Beschluss

Vosoritid bei Achondroplasie

Tabea Krause, Stuttgart

Vosoritid ist zugelassen zur Behandlung eines seltenen Leidens. Übersteigt der Umsatz eines Arzneimittels für seltene Leiden innerhalb von zwölf Kalendermonaten den Betrag von 30 Millionen Euro, muss der pharmazeutische Unternehmer innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung des Gemeinsamen Bundesausschusses Nachweise über einen Zusatznutzen des Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachweisen.

Wie lautet die Zulassung?

Vosoritid ist zugelassen zur Behandlung der Achondroplasie bei Patienten ab dem 4. Lebensmonat, bei denen die Epiphyse noch nicht geschlossen ist. Die Achondroplasie sollte vorher durch Gentests bestätigt werden.

Wie lautet der Beschluss des G-BA?

Der G-BA sieht für Vosoritid gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie einen Hinweis auf einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.

Was war die zweckmäßige Vergleichstherapie?

Zweckmäßige Vergleichstherapie ist die Best-Supportive-Care (BSC), sprich eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität.

Wie ist die Studienlage?

Für die Nutzenbewertung lagen die randomisierten kontrollierten Studien (RCT) BMN 111–206 und BMN 111–301 vor, in denen Vosoritid in

Kombination mit der BSC gegenüber einer BSC allein über einen Zeitraum von 52 Wochen verglichen wurde. Bewertet wurden die Mortalität, die Morbidität (Körpergröße [z-Score], jährliche Wachstumsgeschwindigkeit, Verhältnis von oberem zu unterem Körpersegment und Verhältnis der Körperproportionen und funktionelle Selbstständigkeit), die Lebensqualität und die Nebenwirkungen. Für die Einschätzung der Langzeiteffekte wurden Teilergebnisse der im Dossier vorgelegten Langzeitdaten unterstützend betrachtet.

In beiden RCT wurden keine Todesfälle beobachtet. Hinsichtlich der Morbidität zeigte eine metaanalytische Zusammenfassung der beiden Studien einen statistisch signifikanten Vorteil unter Vosoritid-Therapie hinsichtlich des Endpunkts Körpergröße. Dieser wurde auch in den Langzeitdaten beibehalten. Hinsichtlich der funktionellen Beeinträchtigung, der Lebensqualität und den Nebenwirkungen zeigten die beiden Behandlungsgruppen keine Unterschiede.

Warum hat der G-BA so entschieden?

Ein *Hinweis auf einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen* von Vosoritid wird basierend auf der Überlegenheit hinsichtlich des Endpunkts Körpergröße festgestellt. Das Ausmaß des Zusatznutzens ist bisher nicht abschließend beurteilbar, da die Auswirkung der Verbesserung der Körpergröße auf die mit der Achondroplasie assoziierten Komplikationen und funktionellen Beeinträchtigungen nicht bekannt ist. Des Weiteren fehlen Langzeitdaten bis zum Schluss der Epiphysenfugen, um die unter

Vosoritid-Therapie erzielbare Endgröße zu beurteilen.

Kosten

Die Jahrestherapiekosten von Vosoritid betragen 225 680,60 Euro, die der Best-Supportive-Care als zweckmäßige Vergleichstherapie sind patientenindividuell unterschiedlich. Berücksichtigt wurden dabei die mit der Anwendung des Arzneimittels in direktem Zusammenhang stehenden Kosten (ärztliche Behandlungskosten, Honorarleistungen und Routineuntersuchungen).

Quellen

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) Vosoritid (Neubewertung wegen Überschreitung der 30 Mio. €-Umsatzgrenze: Achondroplasie, ≥ 2 Jahre). 15. Februar 2024.

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) Vosoritid (Neubewertung wegen Überschreitung der 30 Mio. €-Umsatzgrenze: Achondroplasie, ≥ 2 Jahre). 15. Februar 2024.