

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)

Risdiplom (neues Anwendungsgebiet: Spinale
Muskelatrophie, < 2 Monate)

Vom 7. März 2024

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 7. März 2024 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 15. Februar 2024 (BAnz AT 08.04.2024 B1) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

I. In Anlage XII werden den Angaben zur Nutzenbewertung von Risdiplom gemäß dem Beschluss vom 21. Oktober 2021 nach Nr. 4 folgende Angaben angefügt:

Risdiplam

Beschluss vom: 7. März 2024

In Kraft getreten am: 7. März 2024

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 16. August 2023):

Evrysdi wird angewendet zur Behandlung der 5q assoziierten spinalen Muskelatrophie (SMA) bei Patienten mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-, Typ 2- oder Typ 3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 7. März 2024):

Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit 5q assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) und einer klinisch diagnostizierten Typ 1-, Typ 2- oder Typ 3-SMA oder mit einer bis vier Kopien des SMN2-Gens

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

- a) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assozierten SMA und mit bis zu drei Kopien des SMN2-Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Therapie nach ärztlicher Maßgabe unter Berücksichtigung von Nusinersen und Onasemnogen-Abeparvovec

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Risdiplam gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

- b) Symptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-SMA

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Therapie nach ärztlicher Maßgabe unter Berücksichtigung von Nusinersen und Onasemnogen-Abeparvovec

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Risdiplam gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

- c) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assozierten SMA und vier Kopien des SMN2-Gens

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Therapie nach ärztlicher Maßgabe unter Berücksichtigung von Nusinersen und BSC

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Risdiplam gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

- a) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assozierten SMA und mit bis zu drei Kopien des SMN2-Gens

Es liegen keine bewertbaren Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Morbidität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

- b) Symptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-SMA

Es liegen keine Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Morbidität	∅	Es liegen keine Daten vor.

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG, sofern nicht anders indiziert.

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	∅	Es liegen keine Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

c) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assoziierten SMA und vier Kopien des SMN2-Gens

Es liegen keine bewertbaren Daten vor.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Morbidität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

2. Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

- a) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assoziierten SMA und mit bis zu drei Kopien des SMN2-Gens
- b) Symptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-SMA
- c) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assoziierten SMA und vier Kopien des SMN2-Gens

ca. 55 bis 95 Patientinnen und Patienten

3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Evrysdi (Wirkstoff: Risdiplam) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 11. Dezember 2023): https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/evrysdi-epar-product-information_de.pdf.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Risdiplam sollte durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit spinaler Muskelatrophie (SMA) erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie bzw. für Neurologie erfolgen.

Es sollte eine molekulargenetische Diagnostik bezüglich der Deletion oder Mutation des SMN1-Gens inklusive Bestimmung der SMN2-Gen-Kopienzahl für das Vorliegen einer SMA erfolgen.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

- a) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assoziierten SMA und mit bis zu drei Kopien des SMN2-Gens
- b) Symptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-SMA

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Risdiplam ²	8 573,79 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Nusinersen	
Nusinersen ²	239 036,76 €
Zusätzlich notwendige GKV-Kosten	keine berechnungsfähige GOP ³
Onasemnogen-Abeparvovec	
Onasemnogen-Abeparvovec ⁴	1 648 150,00 €

² Dargestellt sind die mittleren Kosten für die ersten 2 Lebensmonate.

³ Gebührenordnungsposition, gemäß dem Einheitlichen Bewertungsmaßstab vom 21.12.2023

⁴ Einmalgabe

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zusätzlich notwendige GKV-Kosten	keine berechnungsfähige GOP ³

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 1. Februar 2024)

c) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assozierten SMA und vier Kopien des SMN2-Gens

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Risdiplam ²	8 573,79 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Nusinersen	
Nusinersen ²	239 036,76 €
zusätzlich notwendige GKV-Kosten	keine berechnungsfähige GOP ³
Best-Supportive-Care ⁵	patientenindividuell unterschiedlich

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 1. Februar 2024)

5. Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können

Im Rahmen der Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V werden die folgenden Feststellungen getroffen:

- a) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assozierten SMA und mit bis zu drei Kopien des SMN2-Gens
- Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.
- b) Symptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer klinisch diagnostizierten Typ 1-SMA
- Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.
- c) Präsymptomatische Patientinnen und Patienten im Alter < 2 Monate mit einer 5q-assozierten SMA und vier Kopien des SMN2-Gens
- Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.

⁵ Bei einem Vergleich von Risdiplam gegenüber Best-Supportive-Care sind die Kosten von Best-Supportive-Care auch für das zu bewertende Arzneimittel zusätzlich zu berücksichtigen.

Die Benennung von Kombinationen dient ausschließlich der Umsetzung des Kombinationsabschlages nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmern. Die getroffenen Feststellungen schränken weder den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum ein, noch treffen sie Aussagen über Zweckmäßigkeit oder Wirtschaftlichkeit.

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 7. März 2024 in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 7. März 2024

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken