

# Tragende Gründe



Gemeinsamer  
Bundesausschuss

## **zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V - Teduglutid (neues Anwendungsgebiet)**

Vom 19. Januar 2017

### Inhalt

|   |          |
|---|----------|
| <b>1. Rechtsgrundlage</b> .....   | <b>2</b> |
| <b>2. Eckpunkte der Entscheidung</b> .....  | <b>3</b> |
| 2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels.....   | 4        |
| 2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Teduglutid (Revestive®) gemäß<br>Fachinformation .....              | 4        |
| 2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens .....  | 4        |
| 2.2 Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage<br>kommenden Patientengruppen ..... | 6        |
| 2.3 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....  | 7        |
| 2.4 Therapiekosten .....  | 7        |
| <b>3. Bürokratiekosten</b> .....  | <b>9</b> |
| <b>4. Verfahrensablauf</b> .....  | <b>9</b> |

## 1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen von erstattungsfähigen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs), die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 1. Halbs. SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 10 2. Halbs. SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 10 1. Halbs. SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Lediglich das Ausmaß des Zusatznutzens ist nachzuweisen.

Die aus der gesetzlich angeordneten Bindung an die Zulassung resultierenden Beschränkungen bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs entfallen jedoch, wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apotheken-Verkaufspreisen einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 50 Millionen Euro übersteigt. Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kapitel § 6 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 10 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die gesetzliche Grenze von 50 Millionen Euro überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt (vgl. § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V). Die Bewertung des G-BA ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

## 2. Eckpunkte der Entscheidung

Am 29. Juni 2016 hat Teduglutid (Revestive®) die Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet erhalten: „Revestive ist indiziert zur Behandlung von Patienten ab dem Alter von 1 Jahr mit Kurzdarmsyndrom. Nach einem chirurgischen Eingriff sollte zunächst eine Phase der intestinalen Adaption abgewartet werden und die Patienten sollten sich in einer stabilen Phase befinden.“

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht am 25. Juli 2016, d.h. innerhalb von vier Wochen nach der Unterrichtung des pharmazeutischen Unternehmers über die Genehmigung für ein neues Anwendungsgebiet, ein Dossier gemäß § 4 Abs. 3 Nr. 2 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. Kapitel 5, § 8 Nr. 2 der Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA zum Wirkstoff Teduglutid mit dem neuen Anwendungsgebiet eingereicht.

Teduglutid zur Behandlung von Patienten ab dem Alter von 1 Jahr mit Kurzdarmsyndrom ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 10 1. Halbs. SGB V gilt der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird auf der Grundlage der Zulassungsstudien durch den G-BA bewertet.

Der G-BA hat die Nutzenbewertung durchgeführt und das IQWiG mit der Bewertung der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers in Modul 3 des Dossiers zu Therapiekosten und Patientenzahlen beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 1. November 2016 zusammen mit der Bewertung des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus eine mündliche Anhörung durchgeführt.

Der G-BA hat seinen Beschluss auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom G-BA durchgeführten Dossierbewertung, der vom IQWiG erstellten Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen (IQWiG G16-10) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen getroffen.

Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der G-BA die für die Zulassung relevanten Studien nach Maßgabe der in 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Satz 1 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien in Hinblick auf ihre therapeutische Relevanz (qualitativ) bewertet. Auf die vom IQWiG vorgeschlagene Methodik gemäß den Allgemeinen Methoden<sup>1</sup> wurde in der Nutzenbewertung von Teduglutid nicht abgestellt.

Ausgehend hiervon ist der G-BA, unter Berücksichtigung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung, zu folgender Bewertung gelangt:

---

<sup>1</sup> Allgemeine Methoden, Version 4.2 vom 22.04.2015. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln.

## 2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels

### 2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Teduglutid (Revestive®) gemäß Fachinformation

Revestive ist indiziert zur Behandlung von Patienten ab dem Alter von 1 Jahr mit Kurzdarmsyndrom. Nach einem chirurgischen Eingriff sollte zunächst eine Phase der intestinalen Adaption abgewartet werden und die Patienten sollten sich in einer stabilen Phase befinden.<sup>2</sup>

### 2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Teduglutid bei Patienten im Alter von einem bis einschließlich 17 Jahren wie folgt bewertet:

Nicht quantifizierbar.

Begründung:

Der pharmazeutische Unternehmer legt zur Beantwortung der Fragestellung zum Ausmaß des Zusatznutzens die Daten der Studie TED-C13-003 vor. Es handelt sich um die von der EMA im Zulassungsverfahren für diese Patientengruppe herangezogene Studie. Dabei beruhte die Zulassung nicht auf einem separaten Wirksamkeitsnachweis für Kinder und Jugendliche, vielmehr wurde auf Basis der Studie die Vergleichbarkeit der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit mit den an erwachsenen Patienten beobachteten Ergebnissen angenommen.<sup>3</sup>

Die Studie wurde prospektiv, offen und vergleichend an 17 Zentren in den USA und im Vereinigten Königreich durchgeführt. Es wurden 42 Patienten im Alter von einem bis unter 18 Jahren mit Kurzdarmsyndrom aufgrund Resektion (mindestens 12 Monate vor dem Screening) eingeschlossen, die zuvor für mindestens drei Monate stabil mit einer parenteralen Ernährung eingestellt waren. Die Gruppenzuteilung (Teduglutid n=37; Standardbehandlung n=5) erfolgte nicht-randomisiert auf Basis der Entscheidung der Patienten bzw. der Sorgeberechtigten. Für den vorliegenden Beschluss wird innerhalb der Teduglutid-Gruppe nur die Untergruppe (n=15) betrachtet, in der die Patienten die gemäß Zulassung empfohlene Dosierung von 0,05 mg/kg/Tag erhielten. Die Kontrollgruppe erhielt eine Standardbehandlung mit parenteraler Ernährung. Die Studiendauer umfasste 12 Wochen der Behandlung zzgl. 2 Wochen Screening vor Baseline und 4 Wochen Follow-Up nach der Behandlungsphase.

Sowohl im Studienbericht als auch im Zulassungsverfahren wurden lediglich deskriptive Auswertungen vorgenommen. Die Vergleichbarkeit der Gruppen ist durch die stark unterschiedliche Altersverteilung unzureichend gegeben. In der Kontrollgruppe waren keine Patienten über einem Alter von drei Jahren, in der Teduglutid-Gruppe dagegen acht von 15 Patienten über drei Jahre enthalten. Nur ein Patient der Teduglutid-Gruppe war älter als 13 Jahre. Weitere Variablen (Ätiologie, Stoma, Restdarmlänge) waren zwar prozentual ähnlich verteilt, insgesamt ist aber der Vergleich der Baseline-Charakteristika aufgrund der kleinen Fallzahl problematisch.

Die Aussagekraft der Studie ist durch diese Limitationen insgesamt deutlich eingeschränkt.

---

<sup>2</sup> Dieser Beschluss bezieht sich ausschließlich auf die zum 29.06.2016 zugelassene Patientengruppe der Patienten im Alter von einem bis einschließlich 17 Jahren.

<sup>3</sup> EMA/531666/2016. CHMP extension of indication variation assessment report (26.05.2016).

### *Mortalität*

In der Studie traten keine Todesfälle auf. Daher kann hinsichtlich der Mortalität keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens getroffen werden.

### *Morbidität*

Die Erfassung der Endpunkte der Volumenreduktion von parenteraler Ernährung erfolgte durch Auswertungen der vom Prüfarzt verschriebenen Volumina sowie auf Tagebuchdaten der Patienten. Im Tagebuch wurde das für die Erfassung des Endpunktes relevante Volumen und ggf. zusätzliche orale oder enterale Ernährung vom Patienten oder den Angehörigen dokumentiert.

Einer der Endpunkte der Studie war die Volumenreduktion von parenteraler Ernährung. In der Responderanalyse wurde Ansprechen, definiert als 10% bzw. 20% Reduktion des Volumens der wöchentlichen parenteralen Ernährung in Woche 12 im Vergleich zur Baseline, nur in der Teduglutid-Gruppe erreicht, und zwar von 8 Patienten bei Auswertung der vom Prüfarzt verschriebenen Volumina. Die Auswertung der Tagebuchdaten ergab 10 (10%ige Reduktion der parenteralen Ernährung) bzw. 7 (20%ige Reduktion) Responder. Die relative und absolute Volumenänderung pro Woche war in der Teduglutid-Gruppe jeweils ausgeprägter: Es ergab sich eine Verringerung um im Median 25,4 % bzw. 1,3 Liter unter Teduglutid gegenüber 0 % unter Placebo bei Auswertung der vom Prüfarzt verschriebenen Volumina. Die Auswertung der Tagebuchdaten ergab eine Verringerung um 29,3 % bzw. 2,0 Liter pro Woche unter Teduglutid gegenüber einer Steigerung von 9,1 % bzw. 0,5 Liter pro Woche unter Placebo.

Eine eindeutige Einschätzung der Patientenrelevanz der Volumenreduktion parenteraler Ernährung kann aus den vorliegenden Daten nicht hergeleitet werden. Eine Reduktion des Volumens der parenteralen Ernährung, ohne ein völliges Absetzen zu erreichen, bedeutet für die Patienten zwar unmittelbar ein Gewinn an Zeit und damit eventuell ein Gewinn an Lebensqualität. Die Lebensqualität wurde jedoch nicht als separater Endpunkt in der Studie erhoben.

Des Weiteren wurde der Anteil der Patienten erfasst, die ihre parenterale Ernährung nach 12 Wochen um 1, 2 bzw. 3 Tage pro Woche reduzieren konnten. Basierend auf den vom Arzt verschriebenen Volumina konnten dies 4 Patienten in der Teduglutid-, jedoch keine Patienten in der Kontrollgruppe erreichen. Laut Tagebuchdaten ergab sich eine Verkürzung von im Median 3 Stunden pro Tag unter Teduglutid vs. 0 Stunden pro Tag unter Kontrolle.

Komplettes Absetzen der parenteralen Ernährung:

Patienten mit Kurzdarmsyndrom, die dauerhaft auf parenterale Ernährung angewiesen sind, brauchen einen zentralvenösen Zugang. Ein solcher Zugang kann zu einer Reihe von schwerwiegenden Komplikationen führen (z.B. Bakteriämie, Septikämie, Thrombosen, Embolien). Ein völliges Absetzen der parenteralen Ernährung und somit der Notwendigkeit eines dauerhaften Katheters wird daher als patientenrelevantes Therapieziel angesehen. Das komplette Absetzen der parenteralen Ernährung wurde in der Teduglutid-Gruppe von 3 Patienten basierend auf den vom Prüfarzt verschriebenen Volumina, nicht aber in der Kontrollgruppe erreicht. Basierend auf den Tagebuchdaten und den vom Prüfarzt verschriebenen Volumina erreichte ein Patient von 15 in der Teduglutidgruppe ein komplettes Absetzen der parenteralen Ernährung, demgegenüber kein Patient in der Kontrollgruppe.

Eine Quantifizierung des Zusatznutzens ist auf Grundlage der vorliegenden Daten zur Morbidität aufgrund der beschriebenen methodischen Limitationen der Studie nicht möglich.

### *Lebensqualität*

Die gesundheitsbezogene Lebensqualität wurde nicht als separater Endpunkt erhoben. Es lässt sich keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens aufgrund der Lebensqualität treffen.

### *Nebenwirkungen*

Unerwünschte Ereignisse (UE) traten bei jeweils allen Patienten der beiden Studienarme auf. Mindestens ein schwerwiegendes UE (SUE) wurde bei 53 % der Patienten in der Interventions- und 60 % in der Kontrollgruppe berichtet. In keinem Fall wurde die Therapie aufgrund von UE abgebrochen. Die Betrachtung einzelner UE ist aufgrund der geringen Studiengröße und unzureichender Vergleichbarkeit der Behandlungsgruppen für die Herleitung des Ausmaßes eines Zusatznutzens nicht angemessen. Insgesamt kann hinsichtlich der Nebenwirkungen keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens getroffen werden.

### *Gesamtbetrachtung*

Zusammenfassend lässt sich anhand der Mortalitäts-, Morbiditäts- und Nebenwirkungsdaten keine Quantifizierung des Zusatznutzens von Teduglutid ableiten.

Aufgrund der deutlichen methodischen Limitationen der Studie sowie der insgesamt eingeschränkten Evidenzgrundlage stuft der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens für Teduglutid in der Gruppe der Patienten von einem bis unter 18 Jahren auf Basis der Kriterien in § 5 Absatz 7 der AM-NutzenV unter Berücksichtigung des Schweregrades der Erkrankung und des therapeutischen Ziels bei der Behandlung der Erkrankung als nicht quantifizierbar ein. Damit ist eine quantitative Beurteilung des Ausmaßes des Effektes und eine Quantifizierung des Zusatznutzens in eine der Kategorien „gering“, „beträchtlich“ oder „erheblich“ auf der Grundlage der vorgelegten Daten nicht möglich.

Ein Zusatznutzen liegt vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine quantifizierbare Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens für patientenrelevante Endpunkte zum derzeitigen Zeitpunkt nicht zulässt.

## 2.2 Anzahl der Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Die Angabe der Patientenzahlen folgt der Berechnung des IQWiG.<sup>4</sup> Laut Publikation Websky et al.<sup>5</sup> liegt die Gesamtzahl von Patienten mit Kurzdarmsyndrom bei 2.808 (95%-Konfidenzintervall 1.750; 3.865). Bei einem Anteil von GKV-Versicherten im Alter von einem bis 17 Jahren von 13,2 % an der Gesamtbevölkerung, und abzüglich eines Anteils von 1 % von Patienten mit maligner Grunderkrankung, ergeben sich bei Berücksichtigung des Konfidenzintervalls ca. 230 bis 500 Patienten. Diese Zahlen stellen möglicherweise eine Überschätzung dar, da es fraglich ist, ob durch die Operationalisierung der Dauerhaftigkeit von parenteraler Ernährung in der Publikation Websky et al. potenziell Patienten eingeschlossen wurden, die sich noch in der Phase der intestinalen Adaption befinden und daher gemäß Anwendungsgebiet nicht für die Anwendung von Teduglutid in Frage kommen.

---

<sup>4</sup> Dossierbewertung des IQWiG (G16-10).

<sup>5</sup> von Websky MW et al. Das Kurzdarmsyndrom in Deutschland. Chirurg 2013; 85: 433–439.

### 2.3 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 Revestive® (Wirkstoff: Teduglutid) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 21. Dezember 2016):

[http://www.ema.europa.eu/docs/de\\_DE/document\\_library/EPAR\\_-\\_Product\\_Information/human/002345/WC500132926.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/de_DE/document_library/EPAR_-_Product_Information/human/002345/WC500132926.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Teduglutid soll nur durch in der Therapie von Patienten ab dem Alter von einem Jahr mit Kurzdarmsyndrom erfahrene Ärzte erfolgen.

Vor Beginn der Behandlung ist bei allen Kindern der Stuhl auf okkultes Blut zu untersuchen. Jährliche Kontrollen sind angezeigt, solange die Kinder Teduglutid erhalten.

Vor Einleitung der Teduglutid-Behandlung sollten Kinder im Alter von zwölf Jahren und älter einer Koloskopie/Sigmoidoskopie unterzogen werden (sofern innerhalb des vorangegangenen Jahres keine solche Untersuchung durchgeführt wurde). Kinder unter zwölf Jahren sollten ebenfalls einer Darmspiegelung unterzogen werden, wenn unerklärliche Blutbeimengungen im Stuhl festgestellt wurden. Nach einjähriger Behandlung wird für alle Kinder eine Koloskopie empfohlen, und bei fortgesetzter Behandlung empfiehlt sich mindestens alle fünf Jahre eine Kontrollkoloskopie.

### 2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 1. Januar 2017).

Die Arzneimittelkosten wurden zur besseren Vergleichbarkeit näherungsweise sowohl auf der Basis der Apothekenverkaufspreisebene als auch abzüglich der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte nach § 130a SGB V und nach § 130 Absatz 1 SGB V, erhoben. Für die Berechnung der Arzneimittelkosten wurde zunächst anhand des Verbrauchs die benötigte Anzahl an Packungen nach Wirkstärke ermittelt. Mit der Anzahl an Packungen nach Stückzahl wurden dann die Arzneimittelkosten auf Basis der Kosten pro Packung, nach Abzug der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte, berechnet.

#### Behandlungsdauer:

| Bezeichnung der Therapie | Behandlungsmodus                | Anzahl Behandlungen pro Patient pro Jahr | Behandlungsdauer je Behandlung (Tage) | Behandlungstage pro Patient pro Jahr |
|--------------------------|---------------------------------|--|---------------------------------------|--------------------------------------|
| Teduglutid               | 1x täglich, subkutane Injektion | kontinuierlich                           | 365                                   | 365                                  |

### Verbrauch:

Gemäß Fachinformation beträgt die empfohlene Dosierung einmal täglich 0,05 mg/kg Körpergewicht. Für das durchschnittliche Körpergewicht bei Kindern ab 1 Jahr werden 11,6 kg, bei Jugendlichen im Alter von 17 Jahren 67,1 kg angenommen.<sup>6</sup> Der Dosisbereich beträgt entsprechend 0,58 bis 3,36 mg/Tag. Es ergibt sich ein Verbrauch von 365 Durchstechflaschen zu je 5 mg pro Jahr unabhängig vom Alter der Patienten. Nicht verwendete Lösung ist gemäß Fachinformation zu verwerfen.

| Bezeichnung der Therapie | Wirkstärke (mg) | Menge pro Packung (Durchstechflaschen) | Jahresdurchschnittsverbrauch (Durchstechflaschen) |
|--------------------------|-----------------|--|---|
| Teduglutid               | 5 mg            | 28 x 5 mg                              | 365   |

### Kosten:

#### **Kosten der Arzneimittel:**

| Bezeichnung der Therapie                         | Kosten (Apothekenabgabepreis nach Wirkstärke und Packungsgröße) | Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte           |
|--|---|---|
| Teduglutid (Revestive® Pulver und Lösungsmittel) | 21.036,94 €   | 19.837,02 €<br>[1,77 € <sup>7</sup> ; 1.198,15 € <sup>8</sup> ] |

Stand Lauer-Taxe: 1. Januar 2017

#### Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen:

| Art der Leistung  | Kosten pro Einheit <sup>9</sup> | Anzahl pro Patient pro Jahr  |
|---|---------------------------------|--|
| Koloskopie, Sigmoidoskopie  |                                 |  |
| Zusatzpauschale Koloskopie beim Säugling, Kleinkind Kind oder Jugendlichen<br>GOP 04514 <sup>10</sup> | 185,96 €                        | Vor Beginn der Behandlung (bei Kindern im Alter von 12 Jahren und älter) sowie nach einjähriger Behandlung (bei allen Kindern) später in |
| Zusatzpauschale (Teil-)Koloskopie   | 113,72 €                        |  |

<sup>6</sup> Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (2013, beide Geschlechter), [www.gbe-bund.de](http://www.gbe-bund.de).

<sup>7</sup> Rabatt nach § 130 SGB V

<sup>8</sup> Rabatt nach § 130a SGB V

<sup>9</sup> Gemäß einheitlichem Bewertungsmaßstab (EBM). Orientierungswert für das Jahr 2017: 10,5300 Cent.

<sup>10</sup> Entweder Gebührenordnungsposition (GOP) 04514 oder GOP 04518.

|   |         |   |
|---|---------|---|
| und/oder Sigmoidoskopie beim Säugling, Kleinkind, Kind oder Jugendlichen<br>GOP 04518 <sup>10</sup>       |         | mindestens 5-jährigen Abständen.                    |
| Zusätzliche Leistung(en) im Zusammenhang mit den Gebührenordnungspositionen 04514 oder 04518<br>GOP 04520 | 27,59 € |   |
| Histologische Untersuchung von Polypen<br>GOP 19310   | 8,74 €  |   |
| Untersuchung auf Blut im Stuhl  |         |   |
| Untersuchung auf Blut im Stuhl in 3 Proben<br>GOP 32040   | 1,45 €  | Vor Beginn der Behandlung und jährliche Kontrollen. |

### 3. Bürokratiekosten

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen bzw. geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zum 1. Kapitel VerfO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

### 4. Verfahrensablauf

Am 25. Juli 2016 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Nummer 2 VerfO, fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Teduglutid beim G-BA eingereicht.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 1. November 2016 zusammen mit der Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 22. November 2016.

Die mündliche Anhörung fand am 5. Dezember 2016 statt.

Zur Vorbereitung einer Beschlussempfehlung hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG § 35a) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil.

Die Auswertung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 10. Januar 2017 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 19. Januar 2017 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

## Zeitlicher Beratungsverlauf

| <b>Sitzung</b>                 | <b>Datum</b>                        | <b>Beratungsgegenstand</b>  |
|--------------------------------|-------------------------------------|---|
| Unterausschuss<br>Arzneimittel | 25. Oktober 2016                    | Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA  |
| AG § 35a                       | 29. November 2016                   | Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung  |
| Unterausschuss<br>Arzneimittel | 5. Dezember 2016                    | Durchführung der mündlichen Anhörung  |
| AG § 35a                       | 13. Dezember 2016<br>4. Januar 2017 | Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens |
| Unterausschuss<br>Arzneimittel | 10. Januar 2017                     | Abschließende Beratung der Beschlussvorlage   |
| Plenum                         | 19. Januar 2017                     | Beschlussfassung über die Änderung der Anlage XII AM-RL   |

Berlin, den 19. Januar 2017

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken