

**Evinacumab** (Neues Anwendungsgebiet: homozygote familiäre Hypercholesterinämie,  $\geq 5$  bis  $< 12$  Jahre)

Beschluss vom: 4. Juli 2024  
In Kraft getreten am: 4. Juli 2024  
BANz AT 16.08.2024 B2

gültig bis: unbefristet

**Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 11. Dezember 2023):**

Evkeeza wird angewendet als adjuvante Therapie zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des Spiegels des Lipoprotein-Cholesterins niedriger Dichte (low density lipoprotein cholesterol, LDL-C) zur Behandlung von Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern ab einem Alter von 5 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie (HoFH).

**Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 4. Juli 2024):**

Evkeeza wird angewendet als adjuvante Therapie zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des Spiegels des Lipoprotein-Cholesterins niedriger Dichte (low density lipoprotein cholesterol, LDL-C) zur Behandlung von **Jugendlichen und Kindern ab einem Alter von 5 bis  $< 12$  Jahren** mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie (HoFH).

**1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie**

Kinder und Jugendliche im Alter von 5 bis  $< 12$  Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie, bei denen diätetische und medikamentöse Optionen zur Lipidsenkung ausgeschöpft worden sind

**Zweckmäßige Vergleichstherapie:**

- Evolocumab (ab 10 Jahren) ggf. mit begleitender medikamentöser lipidsenkender Therapie, *oder*
- LDL-Apherese (als „ultima ratio“ bei therapierefraktären Verläufen) ggf. mit begleitender medikamentöser lipidsenkender Therapie, *oder*
- Evolocumab (ab 10 Jahren) und LDL-Apherese (als „ultima ratio“ bei therapierefraktären Verläufen) ggf. mit begleitender medikamentöser lipidsenkender Therapie

**Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Evinacumab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:**

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

## Studienergebnisse nach Endpunkten:<sup>1</sup>

Kinder und Jugendliche im Alter von 5 bis <12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie, bei denen diätetische und medikamentöse Optionen zur Lipidsenkung ausgeschöpft worden sind

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

Kinder und Jugendliche im Alter von 5 bis <12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie, bei denen diätetische und medikamentöse Optionen zur Lipidsenkung ausgeschöpft worden sind

ca. 5-6 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 Evkeeza (Wirkstoff: Evinacumab) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 27. Mai 2024):

[https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/evkeeza-epar-product-information\\_de.pdf](https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/evkeeza-epar-product-information_de.pdf)

Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Das bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Erkrankung nicht möglich war, vollständige Informationen

<sup>1</sup> Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A24-06), sofern nicht anders indiziert.

zu diesem Arzneimittel zu erhalten. Die EMA wird alle neuen Informationen, die verfügbar werden, jährlich bewerten, und falls erforderlich, wird die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels aktualisiert werden.

#### 4. Therapiekosten

##### Jahrestherapiekosten:

Kinder und Jugendliche im Alter von 5 bis <12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie, bei denen diätetische und medikamentöse Optionen zur Lipidsenkung ausgeschöpft worden sind

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Evinacumab	105 278,16 € - 210 556,32 €
Colestyramin	87,69 € - 876,91 €
Ezetimib	96,14 €
Rosuvastatin	45,63 € - 73,26 €
Evolocumab <sup>2</sup>	5 336,44 € - 11 606,76 €
LDL-Apherese	23 150,18 € - 67 522,12 €
<i>Evinacumab in Kombination mit anderen lipidsenkenden Therapien</i>	
Evinacumab + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin	105 507,62 € - 211 602,63 €
Evinacumab + Rosuvastatin + Evolocumab <sup>2</sup>	110 660,23 € - 222 236,33 €
Evinacumab + Rosuvastatin + Ezetimib + Evolocumab <sup>2</sup>	110 756,37 € - 222 332,47 €
Evinacumab + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin + Evolocumab <sup>2</sup>	110 887,90 € - 223 209,39 €
Evinacumab + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin + Evolocumab <sup>2</sup> + LDL-Apherese	134 038,08 € - 290 731,51 €
Evinacumab + Rosuvastatin + LDL-Apherese	128 473,96 € - 278 151,70 €
Evinacumab + Rosuvastatin + Ezetimib + LDL-Apherese	128 570,10 € - 278 247,84 €
Evinacumab + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin + LDL-Apherese	128 657,80 € - 279 124,75 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Evolocumab<sup>2</sup> ggf. mit begleitender medikamentöser lipidsenkender Therapie, <i>oder</i></li> <li>• LDL-Apherese (als „ultima ratio“ bei therapierefraktären Verläufen) ggf. mit begleitender medikamentöser lipidsenkender Therapie, <i>oder</i></li> <li>• Evolocumab<sup>2</sup> und LDL-Apherese (als „ultima ratio“ bei therapierefraktären Verläufen) ggf. mit begleitender medikamentöser lipidsenkender Therapie</li> </ul>	
Evolocumab <sup>2</sup>	5 336,44 € - 11 606,76 €

<sup>2</sup> Ab 10 Jahren.

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
LDL-Apherese	23 150,18 € - 67 522,12 €
Colestyramin	87,69 € - 876,91 €
Ezetimib	96,14 €
Rosuvastatin	45,63 € - 73,26 €
<i>Evolocumab<sup>2</sup> ggf. + begleitende medikamentöse lipidsenkende Therapie</i>	
Evolocumab <sup>2</sup> ggf. + Rosuvastatin	5 382,07 € - 11 680,01 €
Evolocumab <sup>2</sup> ggf. + Rosuvastatin + Ezetimib	5 478,21 € - 11 776,15 €
Evolocumab <sup>2</sup> ggf. + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin	5 609,74 € - 12 653,07 €
<i>LDL-Apherese ggf. + begleitende medikamentöse lipidsenkende Therapie</i>	
LDL-Apherese ggf. + Rosuvastatin	23 195,80 € - 67 595,38 €
LDL-Apherese ggf. + Rosuvastatin + Ezetimib	23 291,94 € - 67 691,52 €
LDL-Apherese ggf. + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin	23 379,64 € - 68 568,43 €
<i>Evolocumab<sup>2</sup> und LDL-Apherese ggf. + begleitende medikamentöse lipidsenkende Therapie</i>	
Evolocumab <sup>2</sup> + LDL-Apherese	28 486,62 € - 79 128,88 €
Evolocumab <sup>2</sup> + LDL-Apherese ggf. + Rosuvastatin	28 532,24 € - 79 202,13 €
Evolocumab <sup>2</sup> + LDL-Apherese ggf. + Rosuvastatin + Ezetimib	28 628,38 € - 79 298,27 €
Evolocumab <sup>2</sup> + LDL-Apherese ggf. + Rosuvastatin + Ezetimib + Colestyramin	28 759,92 € - 80 175,19 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Juni 2024)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

Sonstige GKV-Leistungen:

Bezeichnung der Therapie	Art der Leistung	Kosten/ Einheit	Anzahl/ Zyklus	Anzahl/ Patientin bzw. Patient / Jahr	Kosten/ Patientin bzw. Patient / Jahr
<b>Zu bewertendes Arzneimittel:</b>					
Evinacumab	Zuschlag für die Herstellung einer parenteralen Lösung mit monoklonalen Antikörpern	100 €	1	13,0	1 300 €

## **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:

Kinder und Jugendliche im Alter von 5 bis <12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie, bei denen diätetische und medikamentöse Optionen zur Lipidsenkung ausgeschöpft worden sind

Folgende Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die aufgrund der arzneimittelrechtlichen Zulassung in einer Kombinationstherapie mit Evinacumab im Anwendungsgebiet des Beschlusses eingesetzt werden können, werden gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V benannt (Wirkstoffe und Handelsnamen):

Evolocumab (Repatha) [ab 10 Jahren]

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. In die Anlage XIIa der AM-RL werden folgende Angaben in alphabetischer Reihenfolge eingefügt:**

„Wirkstoff des bewerteten Arzneimittels

Evinacumab

Beschluss gem. § 35a Absatz 3 SGB V vom

4. Juli 2024

Anwendungsgebiet des Beschlusses

Evkeeza wird angewendet als adjuvante Therapie zu Diät und anderen Therapien zur Senkung des Spiegels des Lipoprotein-Cholesterins niedriger Dichte (low density lipoprotein cholesterol, LDL-C) zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab einem Alter von 5 bis < 12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie (HoFH).

Patientengruppe

Kinder und Jugendliche im Alter von 5 bis <12 Jahren mit homozygoter familiärer Hypercholesterinämie, bei denen diätetische und medikamentöse Optionen zur Lipidsenkung ausgeschöpft worden sind

Benennung der Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V (Wirkstoffe und Handelsnamen)

Evolocumab (Repatha) [ab 10 Jahren]

Geltungsdauer der Benennung (seit... bzw. von... bis)

Seit 4. Juli 2024

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.“