

## 2 Nutzenbewertung

### 2.1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

#### Hintergrund

Der G-BA hat das IQWiG mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Turoctocog alfa gemäß § 35a SGB V beauftragt. Die Bewertung erfolgte auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.01.2014 übermittelt.

#### Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Turoctocog alfa im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie in der Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A, bei denen ein angeborener Faktor-VIII-Mangel vorliegt.

Der G-BA hat für das Anwendungsgebiet die zweckmäßige Vergleichstherapie wie folgt festgelegt:

- rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate.

Der pU wählt den rekombinanten Blutgerinnungsfaktor Octocog alfa als eine der vom G-BA als zweckmäßige Vergleichstherapie festgelegten Alternativen aus, beschränkt seine Wahl jedoch auf Octocog alfa der dritten Generation (Advate). Diesem Vorgehen wird nicht gefolgt. Gemäß Festlegung des G-BA wären alle Präparate mit dem Wirkstoff Octocog alfa zu berücksichtigen. Für die Bewertung wird daher die zweckmäßige Vergleichstherapie des G-BA herangezogen.

Die Bewertung erfolgte bezüglich patientenrelevanter Endpunkte.

#### Ergebnisse

Für die vorliegende Nutzenbewertung wurde keine relevante Studie zur Bewertung des Zusatznutzens von Turoctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie identifiziert. Dies entspricht der Einschätzung des pU. Daher stützt der pU seine Aussagen zum Zusatznutzen auf weiteren Überlegungen, für die er verschiedene Publikationen und Statistiken aufführt. Er beschreibt eine „Verbesserung der Versorgungssicherheit“ sowie eine „verbesserte Integration von Hämophilie-Patienten in ein normales soziales Leben“, welche sich aus seiner Sicht durch die Markteinführung von Turoctocog alfa ergeben. Dieser Argumentation wird nicht gefolgt.

Allein aus der Zulassung und Markteinführung eines neuen Präparats und der aus Sicht des pU damit verbundenen „Verbesserung der Versorgungssicherheit“ ist kein Zusatznutzen abzuleiten.

Des Weiteren postuliert der pU einen Vorteil von Turoctocog alfa gegenüber Octocog alfa der dritten Generation aus dem Sachverhalt, dass Turoctocog alfa vorübergehend bei Temperaturen von bis zu 30 °C gelagert werden könne, gegenüber nur 25 °C bei Octocog alfa. Dieser Vorteil wirke sich insbesondere während der Sommermonate und bei Reisen in wärmere Länder aus und ermögliche daher eine „verbesserte Integration von Hämophilie-Patienten in ein normales soziales Leben“. Dass die Integration von Hämophilie-Patienten in ein normales soziales Leben ein wesentliches Behandlungsziel darstellt, wird nicht bestritten. Um aber einen solchen vom pU postulierten Vorteil gegenüber der Vergleichstherapie sicher einordnen zu können, bedarf es zunächst vergleichender, ausreichend interpretierbarer Daten zu patientenrelevanten Endpunkten, da ein Zusatznutzen in den Aspekten Morbidität (wie Blutungen) oder gesundheitsbezogener Lebensqualität aufgrund der um 5 °C unterschiedlichen Lagerungsfähigkeit nicht auf der Hand liegt. Der pU legt jedoch gar keine vergleichenden Daten zu patientenrelevanten Endpunkten vor.

Die vom pU dargelegten Überlegungen sind insgesamt nicht geeignet, um patientenrelevante Effekte zum Nutzen und Schaden von Turoctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie abschätzen zu können.

### **Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen**

Auf Basis der dargestellten Ergebnisse werden das Ausmaß und die Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens des Wirkstoffs Turoctocog alfa im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie wie folgt bewertet:

Tabelle 2: Turoctocog alfa: Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

<b>Anwendungsgebiet</b>	<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie<sup>a</sup></b>	<b>Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens</b>
Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Mangel an Faktor VIII)	<b>Rekombinante<sup>b</sup></b> oder aus humanem Plasma gewonnene <b>Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate</b>	Zusatznutzen nicht belegt
<p>a: Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. In den Fällen, in denen der pU aufgrund der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch den G-BA aus mehreren Alternativen eine Vergleichstherapie auswählen kann, ist die entsprechende Auswahl des pU <b>fett</b> markiert.</p> <p>b: Auswahl auf Basis der Angaben des pU im Dossier: Octocog alfa</p>		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.