

2 Nutzenbewertung

2.1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

Hintergrund

Der G-BA hat das IQWiG mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Efmoctocog alfa gemäß § 35a SGB V beauftragt. Die Bewertung erfolgte auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 18.12.2015 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Efmoctocog alfa im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bei der Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel).

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

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

Der pU folgt bei seiner Wahl der zweckmäßigen Vergleichstherapie der Festlegung des G-BA.

Die Bewertung wurde bezüglich patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die prophylaktische Behandlung gilt eine Mindeststudiendauer von 6 Monaten. Für die Beurteilung der anlassbezogenen Behandlung ist eine Studiendauer von mindestens 50 Expositionstagen zu gewährleisten.

Ergebnisse

Der pU legt keine relevanten Daten für die Bewertung des Zusatznutzens von Efmoctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vor.

Direkter Vergleich

Aus seiner Informationsbeschaffung identifizierte der pU keine randomisierte oder nicht randomisierte direkt vergleichende Studie zum Vergleich von Efmoctocog alfa mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie, weder zur Prophylaxe noch zur anlassbezogenen Behandlung.

Weitere Untersuchungen

Aufgrund des Fehlens vergleichender Studien führt der pU einen nicht adjustierten historischen Vergleich zur Ableitung des Zusatznutzens von Efmoctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch, allerdings nur zur prophylaktischen Behandlung. Der Studienpool des pU zum Nachweis des Zusatznutzens von Efmoctocog alfa umfasst insgesamt 8 Studien, 1 Studie zu Efmoctocog alfa und 7 Studien zur Vergleichstherapie.

Der vorgelegte nicht adjustierte historische Vergleich ist für die Bewertung des Zusatznutzens von Efmoroctocog alfa nicht geeignet, da er auf einem unvollständigen Studienpool basiert und zudem inhaltlich inadäquat ist.

Zum einen setzt der pU seine eigene Fragestellung für die zweckmäßige Vergleichstherapie nicht um, da er die Einschlusskriterien hinsichtlich der Population (nur Patienten ab 12 Jahren mit moderater bis schwerer Hämophilie) und der Vergleichstherapie (nur rekombinante Faktor-VIII-Präparate) einschränkt. Der pU beschränkt seine Analysen zudem auf die beiden Endpunkte annualisierte Blutungsepisoden und Verbrauch an Faktor-VIII-Präparaten. Für die Nutzenbewertung sind jedoch grundsätzlich alle verfügbaren Ergebnisse aus den Endpunkt-kategorien Mortalität, Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität und unerwünschte Ereignisse heranzuziehen.

Zum anderen ist die Informationsbeschaffung für die zweckmäßige Vergleichstherapie fehlerhaft und dadurch unvollständig: Die bibliografische Recherche und die Selektion sind ungeeignet, die Studienregisterrecherche fehlt gänzlich. Bereits mit einer orientierenden Recherche lassen sich mehrere Studien identifizieren, die für die Fragestellung des pU potenziell relevant sind.

Zusammenfassung

Insgesamt legt der pU keine relevanten Daten für die Bewertung des Zusatznutzens von Efmoroctocog alfa vor. Es gibt daher keinen Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Efmoroctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, der Zusatznutzen von Efmoroctocog alfa ist nicht belegt.

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 Efmoroctocog alfa im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie wie folgt bewertet:

Tabelle 2 zeigt eine Zusammenfassung von Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Efmoroctocog alfa.

Tabelle 2: Efmoroctocog alfa – Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

Anwendungsgebiet	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a	Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens
Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Kindern und Erwachsenen mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel)	rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate	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 fett markiert. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.