

IQWiG-Berichte – Nr. 258

**Ivacaftor (neues  
Anwendungsgebiet) –  
Bewertung gemäß  
§ 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V**

**Dossierbewertung**

Auftrag: G14-09  
Version: 1.0  
Stand: 26.11.2014

# Impressum

**Herausgeber:**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

**Thema:**

Ivacaftor (neues Anwendungsgebiet) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V

**Auftraggeber:**

Gemeinsamer Bundesausschuss

**Datum des Auftrags:**

25.08.2014

**Interne Auftragsnummer:**

G14-09

**Anschrift des Herausgebers:**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen  
Im Mediapark 8 (KölnTurm)  
50670 Köln

Tel.: +49 (0)221 – 35685-0

Fax: +49 (0)221 – 35685-1

E-Mail: [berichte@iqwig.de](mailto:berichte@iqwig.de)

Internet: [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de)

**ISSN: 1864-2500**

**Medizinisch-fachliche Beratung:**

- Antje Schuster, Zentrum für Kinder- und Jugendmedizin, Universitätsklinikum Düsseldorf, Düsseldorf

Das IQWiG dankt der medizinisch-fachlichen Beraterin für ihren Beitrag zur Dossierbewertung. Die Beraterin war jedoch nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

**An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiter des IQWiG<sup>1</sup>:**

- Christiane Balg
- Andreas Gerber-Grote
- Sarah Mostardt

**Schlagwörter:** Ivacaftor, Zystische Fibrose, Medizinische Versorgungskosten

**Keywords:** Ivacaftor, Cystic Fibrosis, Health Care Costs

---

<sup>1</sup> Aufgrund gesetzlicher Datenschutzbestimmungen haben Mitarbeiter das Recht, ihrer Namensnennung nicht zuzustimmen.

# Inhaltsverzeichnis

	Seite
<b>Tabellenverzeichnis</b> .....	<b>iv</b>
<b>Abkürzungsverzeichnis</b> .....	<b>v</b>
<b>1 Hintergrund</b> .....	<b>1</b>
<b>1.1 Verlauf des Projekts</b> .....	<b>1</b>
<b>1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs</b> .....	<b>2</b>
<b>2 Nutzenbewertung</b> .....	<b>3</b>
<b>3 Kosten der Therapie</b> .....	<b>4</b>
<b>3.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3, Abschnitt 3.2)</b> .....	<b>4</b>
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 GKV-Patienten in der Zielpopulation .....	4
<b>3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3, Abschnitt 3.3)</b> .....	<b>5</b>
3.2.1 Behandlungsdauer .....	5
3.2.2 Verbrauch .....	5
3.2.3 Kosten.....	5
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	6
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	6
3.2.6 Versorgungsanteile .....	6
<b>3.3 Konsequenzen für die Bewertung</b> .....	<b>6</b>
<b>4 Kommentare zu sonstigen Angaben im Dossier des pharmazeutischen Unternehmers</b> .....	<b>7</b>
<b>5 Zusammenfassung der Dossierbewertung</b> .....	<b>8</b>
<b>5.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet</b> .....	<b>8</b>
<b>5.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie</b> .....	<b>8</b>
<b>5.3 Anzahl der Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen</b> .....	<b>8</b>
<b>5.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung</b> .....	<b>9</b>
<b>5.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung</b> .....	<b>9</b>
<b>6 Literatur</b> .....	<b>10</b>
<b>Anhang A – Darlegung potenzieller Interessenkonflikte (externe Sachverständige)</b> .....	<b>11</b>

**Tabellenverzeichnis**

	<b>Seite</b>
Tabelle 1: Jahrestherapiekosten für die GKV für Ivacaftor .....	6
Tabelle 2: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation.....	8
Tabelle 3: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient.....	9

**Abkürzungsverzeichnis**

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
CF	cystic fibrosis (zystische Fibrose)
CFTR	Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer

## 1 Hintergrund

Ivacaftor ist ein Medikament zur Behandlung der zystischen Fibrose (CF; Mukoviszidose) und damit ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen<sup>2</sup> ist. Für diese Präparate gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) innerhalb von 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt zu werden.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers allein im Hinblick auf die Angaben

- zur Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation und
- zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung

zu bewerten.

### 1.1 Verlauf des Projekts

Die Verantwortung für die vorliegende Dossierbewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die vorliegende Dossierbewertung wurde unter Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung umfasst die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis. Darüber stand der/die Berater/-in im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen zur Verfügung. Alle Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU).

Die Angaben im Dossier des pU wurden unter Berücksichtigung der Anforderungen bewertet, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossievorlagen beschrieben sind [1].

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

---

<sup>2</sup> Nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

## **1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs**

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird an den G-BA übermittelt und gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers finden sich auf der Website des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)).

Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

## **2 Nutzenbewertung**

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Aus diesem Grund entfällt das Kapitel Nutzenbewertung an dieser Stelle.

### **3 Kosten der Therapie**

#### **3.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3, Abschnitt 3.2)**

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 B (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

##### **3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation**

Die zystische Fibrose stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar. In der vorliegenden Bewertung ist nur die Patientengruppe zu betrachten, die durch die Zulassungserweiterung neu zum Anwendungsgebiet hinzugekommen ist. Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß dem neu zugelassenen Anwendungsgebiet der Fach- und Gebrauchsinformation von Ivacaftor [2].

Laut Fach- und Gebrauchsinformation besteht die Zielpopulation aus Patienten ab 6 Jahren mit zystischer Fibrose mit einer der acht Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen (G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R).

##### **3.1.2 GKV-Patienten in der Zielpopulation**

Zur Bestimmung der GKV-Zielpopulation zieht der pU den Berichtsband der Qualitätssicherung Mukoviszidose 2012 heran [3]. Dies begründet er damit, dass der Bericht derselben Reihe aus dem Jahr 2011 vom G-BA für die Nutzenbewertung von Ivacaftor bei G551D-Mutationen als valide Quelle für epidemiologische Daten zur zystischen Fibrose anerkannt wurde [4]. Der aktuelle Bericht 2012 trägt Patientendaten aus 80 Einrichtungen innerhalb Deutschlands zusammen und stützt sich auf 9058 Patienten mit Mukoviszidose (Gesamtkollektiv), die jemals seit 1995 gemeldet wurden.

Aus dem aktuellen Bericht entnimmt der pU die Häufigkeit der S549N-Mutation in der Gruppe der Patienten, bei denen der Genotyp bestimmt wurde. Unter Berücksichtigung der homozygoten Patienten bestimmt er den Anteil der Patienten, bei dem diese Mutation in der Gruppe der getesteten Patienten vorliegt mit 0,0571 %. Anteile zu weiteren Mutationen des neu zugelassenen Anwendungsgebietes von Ivacaftor sind in der Tabelle 6.7 zur Mutationshäufigkeit [3, S.40] nicht explizit aufgeführt.

Anschließend überträgt er den Anteil auf das Gesamtkollektiv. Dieses bezieht sich auf einen Zeitraum von 1995 bis Dezember 2012, sodass der pU die in diesem Zeitraum verstorbenen Patienten ausschließt. Damit berechnet der pU die lebenden Patienten mit einer S549N-Mutation, die seit 1995 erfasst wurden.

Abschließend ermittelt der pU die Patienten in der GKV (86,46 %) und die Patienten der Altersgruppe  $\geq 6$  Jahre (87,9 %). Es resultieren 3 bis 4 Patienten in der GKV-Zielpopulation.

### **Bewertung des Vorgehens des pU**

Die Rechenschritte des pU sind nachvollziehbar. Allerdings berücksichtigt der pU nur Patienten mit einer S549N-Mutation. Dies ist insofern nachvollziehbar, da alle anderen Mutationen des neu zugelassenen Anwendungsgebiets der Fach- und Gebrauchsinformation von Ivacaftor (G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P und S549R) nicht in der Tabelle zur Mutationshäufigkeit des aktuellen Berichtsbandes der Qualitätssicherung Mukoviszidose erwähnt sind. Dies ist wahrscheinlich in der Seltenheit dieser Mutationen begründet. Allerdings können sich diese Mutationen in den Kategorien „Andere“ Mutationen (6,9 %) oder „keine Angaben“ der Mutation (0,6 %) befinden.

Es wurde daher eine Anfrage an den Registerbetreiber „Mukoviszidose Institut gGmbH“ gestellt, der die Daten aufarbeitet, die im Berichtsband veröffentlicht wurden. Dort wurde die Auskunft gegeben, dass bei 6532 getesteten und lebenden Patienten mit CF 2 homozygote und 9 heterozygote relevante Mutationen im Jahre 2012 nachgewiesen waren, einschließlich der S549N-Mutation. Bezogen auf die im Jahr 2012 lebenden Patienten mit zystischer Fibrose und unter Beachtung des GKV-Anteils und der Altersgruppe  $\geq 6$  Jahre, resultieren ca. 10 bis 11 Patienten in der Zielpopulation.

### **Zukünftige Änderung der Anzahl der GKV-Patienten**

Der pU geht in den nächsten Jahren von einer weitgehend gleichbleibenden Prävalenz aus. Dies begründet er mit einer konstanten Inzidenz und einer langsam zunehmenden Lebenserwartung der Erkrankung bei einer gleichzeitig niedrigen Geburtenrate.

## **3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3, Abschnitt 3.3)**

Die Angaben des pU zu Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung befinden sich in Modul 3 B (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

### **3.2.1 Behandlungsdauer**

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer sind nachvollziehbar und plausibel und entsprechen der Fach- und Gebrauchsinformation [2]. Ivacaftor wird kontinuierlich verabreicht.

### **3.2.2 Verbrauch**

Die Angaben des pU zum Verbrauch sind nachvollziehbar und plausibel und entsprechen der Fach- und Gebrauchsinformation [2]. Der Jahresverbrauch bei einer empfohlenen Tagesgesamtdosis von 300 mg pro Patient entspricht 109 500 mg Ivacaftor.

### **3.2.3 Kosten**

Die Angaben des pU zu den Kosten von Ivacaftor geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.08.2014 wieder.

### 3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Die vom pU angegebenen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen sind nachvollziehbar und plausibel und entsprechen der Fach- und Gebrauchsinformation [2]. Es fallen Kosten für die Bestimmung der Alanin- und Aspartat-Transaminasen an (im 1. Jahr jeweils 4 Bestimmungen, ab dem 2. Jahr jeweils eine Bestimmung pro Jahr).

Falls der Genotyp eines Patienten nicht bekannt ist, sollte laut Fach- und Gebrauchsinformation eine für die Behandlung erforderliche Mutation mittels einer Genotypisierung bestätigt werden. Die Kosten dafür werden nicht berücksichtigt.

### 3.2.5 Jahrestherapiekosten

Tabelle 1: Jahrestherapiekosten für die GKV für Ivacaftor

Wirkstoffgruppe	Bezeichnung der Patientengruppe	gemäß Modul 3 (pU)		gemäß IQWiG	
		Jahrestherapiekosten pro Patient in €	Jahrestherapiekosten GKV insgesamt in € (3 bis 4 Patienten)	Jahrestherapiekosten pro Patient in €	Jahrestherapiekosten GKV insgesamt in € (10 bis 11 Patienten)
Ivacaftor	Patienten ab 6 Jahren mit zystischer Fibrose mit einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R	1. Jahr: 271 483,26 ab dem 2. Jahr: 271 481,76	3 Patienten: 1. Jahr: 814 449,79 ab dem 2. Jahr: 814 445,29  4 Patienten: 1. Jahr 1 085 933,06 ab dem 2. Jahr: 1 085 927,06	1. Jahr: 271 483,26 ab dem 2. Jahr: 271 481,76	10 Patienten: 1. Jahr: 2 714 832,60 ab dem 2. Jahr: 2 714 817,60  11 Patienten: 1. Jahr: 2 986 315,86 ab dem 2. Jahr: 2 986 299,36
CFRT: Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator, GKV: gesetzliche Krankenversicherung; IQWiG: Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen; pU: pharmazeutischer Unternehmer					

### 3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU geht davon aus, dass zunächst alle in Frage kommenden Patienten mit dem Arzneimittel behandelt werden.

### 3.3 Konsequenzen für die Bewertung

In seine Berechnung zur GKV-Zielpopulation konnte der pU aus der herangezogenen Quelle nur die Häufigkeit zur S549N-Mutation berücksichtigen [3]. Damit könnte die Zielpopulation eine Unterschätzung darstellen. Die Angaben des pU zu den Kosten sind nachvollziehbar und plausibel.

#### **4 Kommentare zu sonstigen Angaben im Dossier des pharmazeutischen Unternehmers**

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Der G-BA beauftragt das IQWiG nur damit, die Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation und die Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung zu bewerten. Aus diesem Grund entfällt das Kapitel Kommentare zu sonstigen Angaben im Dossier des pharmazeutischen Unternehmers an dieser Stelle.

## 5 Zusammenfassung der Dossierbewertung

### 5.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet

Ivacaftor ist nach der Zulassungserweiterung ebenso angezeigt zur Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten ab 6 Jahre mit einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.

### 5.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

### 5.3 Anzahl der Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Tabelle 2: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie (zu bewertendes Arzneimittel)	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation	Kommentar
Ivacaftor	Patienten ab 6 Jahren mit zystischer Fibrose mit einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R	3 bis 4 <sup>a</sup>	In seiner Berechnung zur GKV-Zielpopulation konnte der pU aus der herangezogenen Quelle nur die Häufigkeit zur S549N-Mutation berücksichtigen. Damit wird die Zielpopulation unterschätzt. Eine Anfrage an den Registerbetreiber „Mukoviszidose Institut gGmbH“ zur Häufigkeit der relevanten Mutationen hat ergeben, dass man in Deutschland mit ungefähr 10 bis 11 Patienten in der Zielpopulation rechnen muss.
<p>a: Angabe des pU            CFTR: Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator, GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>			

#### 5.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung

Tabelle 3: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient

Bezeichnung der Therapie (zu bewertendes Arzneimittel)	Bezeichnung der Patientengruppe	Jahrestherapiekosten pro Patient in €	Kommentar
Ivacaftor	Patienten ab 6 Jahren mit zystischer Fibrose mit einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R	1. Jahr: 271 483,26 ab dem 2. Jahr: 271 481,76 <sup>a</sup>	Die Jahrestherapiekosten pro Patient sind nachvollziehbar und plausibel.
<p>a: Angabe des pU CFTR: Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator, GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>			

#### 5.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Der G-BA beauftragt das IQWiG nur damit, die Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation und die Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung zu bewerten.

## 6 Literatur

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. 25.09.2014 [Zugriff: 04.11.2014]. URL: [https://www.g-ba.de/downloads/62-492-922/VerfO\\_2014-06-19.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/62-492-922/VerfO_2014-06-19.pdf).
2. Vertex. Kalydeco 150 mg Filmtabletten: Fachinformation [online]. 07.2014 [Zugriff: 15.09.2014]. URL: <http://www.fachinfo.de>.
3. Sens B, Stern M (Ed). Qualitätssicherung Mukoviszidose 2012. Hannover: Zentrum für Qualität und Management im Gesundheitswesen; 2013. URL: [http://muko.info/fileadmin/redaktion/files\\_gruppen/muko\\_institut/Qualitaetssicherung\\_Internet.pdf](http://muko.info/fileadmin/redaktion/files_gruppen/muko_institut/Qualitaetssicherung_Internet.pdf).
4. Sens B, Stern M. Qualitätssicherung Mukoviszidose 2011. Bad Honnef: Hippocampus; 2012. URL: [http://muko.info/fileadmin/redaktion/Forschung/Muko-Institut/QM\\_CF\\_Einrichtungen/Mukoviszidose\\_2011\\_mit\\_Verlinkungen-gross.pdf](http://muko.info/fileadmin/redaktion/Forschung/Muko-Institut/QM_CF_Einrichtungen/Mukoviszidose_2011_mit_Verlinkungen-gross.pdf).

## Anhang A – Darlegung potenzieller Interessenkonflikte (externe Sachverständige)

### Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung externer Sachverständiger (einer medizinisch-fachlichen Beraterin / eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Berater/-innen, die wissenschaftliche Forschungsaufträge für das Institut bearbeiten, haben gemäß § 139b Abs. 3 Nr. 2 SGB V Gesetzliche Krankenversicherung „alle Beziehungen zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, insbesondere der pharmazeutischen Industrie und der Medizinprodukteindustrie, einschließlich Art und Höhe von Zuwendungen“ offenzulegen. Das Institut hat von der Beraterin / dem Berater ein ausgefülltes Formular „Offenlegung potenzieller Interessenkonflikte“ erhalten. Die Angaben wurden durch das speziell für die Beurteilung der Interessenkonflikte eingerichtete Gremium des Instituts bewertet. Es wurden keine Interessenkonflikte festgestellt, die die fachliche Unabhängigkeit im Hinblick auf eine Bearbeitung des vorliegenden Auftrags gefährden. Im Folgenden sind die Angaben zu Beziehungen zusammengefasst. Alle Informationen beruhen auf Selbstangaben der einzelnen Personen anhand des „Formblatts zur Offenlegung potenzieller Interessenkonflikte – Version ‚frühe Nutzenbewertung‘“. Das Formblatt ist unter [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) abrufbar. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2 / Ergänzende Frage	Frage 3 / Ergänzende Frage	Frage 4 / Ergänzende Frage	Frage 5	Frage 6
Schuster, Antje	nein	ja / nein	ja / nein	nein / nein	nein	nein

Im „Formblatt zur Offenlegung potenzieller Interessenkonflikte – Version ‚frühe Nutzenbewertung‘“ wurden folgende Fragen gestellt:

*Frage 1:* Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor angestellt bei einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere bei einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband?

*Frage 2:* Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor ein Unternehmen, eine Institution oder einen Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Hersteller von Medizinprodukten oder einen industriellen Interessenverband, direkt oder indirekt beraten?

*Ergänzende Frage zu Frage 2:* Haben Sie darüber hinaus das von der Nutzenbewertung betroffene Unternehmen jemals im Zusammenhang mit der präklinischen oder klinischen Entwicklung des zu bewertenden Arzneimittels, direkt oder indirekt beraten?

*Frage 3:* Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband, Honorare erhalten für Vorträge, Stellungnahmen oder Artikel?

*Ergänzende Frage zu Frage 3:* Haben Sie darüber hinaus von dem von der Nutzenbewertung betroffenen Unternehmen jemals im Zusammenhang mit der präklinischen oder klinischen Entwicklung des zu bewertenden Produkts Honorare erhalten für Vorträge, Stellungnahmen oder Artikel?

*Frage 4:* Haben Sie und / oder hat die Einrichtung<sup>3</sup>, die Sie vertreten, abseits einer Anstellung oder Beratungstätigkeit innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband, finanzielle Unterstützung für Forschungsaktivitäten, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen erhalten?

*Ergänzende Frage zu Frage 4:* Haben Sie darüber hinaus persönlich abseits einer Anstellung oder Beratungstätigkeit jemals von dem von der Nutzenbewertung betroffenen Unternehmen im Zusammenhang mit der präklinischen oder klinischen Entwicklung des zu bewertenden Produkts finanzielle Unterstützung für Forschungsaktivitäten, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen erhalten?

---

<sup>3</sup> Sofern Sie in einer ausgedehnten Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, zum Beispiel Klinikabteilung, Forschungsgruppe etc.

*Frage 5:* Haben Sie und / oder hat die Einrichtung<sup>3</sup>, bei der Sie angestellt sind bzw. die Sie vertreten, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen (z. B. Ausrüstung, Personal, Unterstützung bei der Ausrichtung einer Veranstaltung, Übernahme von Reisekosten oder Teilnahmegebühren ohne wissenschaftliche Gegenleistung) erhalten von einem Unternehmen, einer Institution oder einem Interessenverband im Gesundheitswesen, insbesondere von einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Hersteller von Medizinprodukten oder einem industriellen Interessenverband?

*Frage 6:* Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile eines Unternehmens oder einer anderweitigen Institution, insbesondere von einem pharmazeutischen Unternehmen oder einem Hersteller von Medizinprodukten? Besitzen Sie Anteile eines „Branchenfonds“, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Hersteller von Medizinprodukten ausgerichtet ist?