

2 Nutzenbewertung

2.1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Berotralstat gemäß § 35a SGB V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 08.06.2021 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Berotralstat im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren zur routinemäßigen Prävention wiederkehrender Attacken des hereditären Angioödems (HAE).

Aus der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA ergibt sich die in Tabelle 2 dargestellte Fragestellung.

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Berotralstat

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a
routinemäßige Prävention wiederkehrender Attacken des hereditären Angioödems ^b (HAE) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren ^c	Eine routinemäßige Prophylaxe mit C1-Esterase-Inhibitor ^c
a. Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Es wird davon ausgegangen, dass das Anwendungsgebiet von Berotralstat nur Patientinnen und Patienten mit HAE von Typ I oder Typ II umfasst. c. Die Möglichkeit der Akutbehandlung von HAE-Attacken sollte in beiden Studienarmen bestehen. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; HAE: hereditäres Angioödem	

Der pU folgt der Festlegung des G-BA und benennt eine routinemäßige Prophylaxe mit C1-Esterase-Inhibitor als zweckmäßige Vergleichstherapie.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die Ableitung des Zusatznutzens werden randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) mit einer Mindestdauer von 24 Wochen herangezogen.

Ergebnisse

Durch die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools wurde übereinstimmend mit der Einschätzung des pU keine relevante RCT für die Bewertung des Zusatznutzens von Berotralstat im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie identifiziert. Der pU legt darüber hinaus auch keinerlei Daten zur Bewertung des Zusatznutzens vor.

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Berotralstat zur routinemäßigen Prävention wiederkehrender Attacken des HAE bei Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie liegen somit keine geeigneten Daten vor. Daraus ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Berotralstat gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit nicht belegt.

Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen

Tabelle 3 zeigt eine Zusammenfassung von Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens von Berotralstat.

Tabelle 3: Berotralstat – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie^a	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
routinemäßige Prävention wiederkehrender Attacken des hereditären Angioödems ^b (HAE) bei Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren ^c	routinemäßige Prophylaxe mit C1-Esterase-Inhibitor ^c	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Es wird davon ausgegangen, dass das Anwendungsgebiet von Berotralstat nur Patientinnen und Patienten mit HAE von Typ I oder Typ II umfasst. c. Die Möglichkeit der Akutbehandlung von HAE-Attacken sollte in beiden Studienarmen bestehen. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; HAE: hereditäres Angioödem		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.