

## I 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 Eftrenonacog alfa gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 01.08.2023 übermittelt.

### Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Eftrenonacog alfa im Vergleich mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten mit Hämophilie B.

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

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Eftrenonacog alfa

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie <sup>a</sup>
Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel)	<b>rekombinante<sup>b</sup></b> oder aus humanem Plasma gewonnene <b>Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate</b>
a. Dargestellt ist 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. b. Der pU grenzt die rekombinanten Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate auf solche mit verlängerter Halbwertszeit ein. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer	

Der pU folgt der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie nur zum Teil. Er beschränkt die rekombinanten FIX-Präparate auf solche mit verlängerter Halbwertszeit und benennt die beiden Wirkstoffe Nonacog beta pegol und Albutrepenonacog alfa als zweckmäßige Vergleichstherapie. Diese beiden Wirkstoffe sind von der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie umfasst. Die beschriebene Abweichung des pU bleibt für die Nutzenbewertung ohne Konsequenz.

Die vorliegende Nutzenbewertung erfolgt gegenüber der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen.

Für die Ableitung des Zusatznutzens werden im vorliegenden Anwendungsgebiet randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) herangezogen. Dabei werden für die prophylaktische Behandlung RCTs mit einer Mindeststudiendauer von 24 Wochen herangezogen, für die Bewertung der Bedarfsbehandlung ist eine Studiendauer von mindestens 50 Expositionstagen zu gewährleisten.

### Ergebnisse

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Eftrenonacog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten mit Hämophilie B liegen keine geeigneten Daten vor. Daraus ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Eftrenonacog alfa 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 Eftrenonacog alfa.

Tabelle 3: Eftrenonacog alfa – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie <sup>a</sup>	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten aller Altersklassen mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel)	<b>rekombinante<sup>b</sup></b> oder aus humanem Plasma gewonnene <b>Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate</b>	Zusatznutzen nicht belegt

a. Dargestellt ist 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.  
b. Der pU grenzt die rekombinanten Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate auf solche mit verlängerter Halbwertszeit ein.

G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.

### Ergänzender Hinweis

Das Ergebnis der Bewertung weicht vom Ergebnis der Bewertung des G-BA im Rahmen des Marktzugangs 2016 ab. Dort hatte der G-BA einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen von Eftrenonacog alfa festgestellt. Bei dieser Bewertung galt der Zusatznutzen jedoch aufgrund der Sondersituation für Orphan Drugs unabhängig von den zugrunde liegenden Daten durch die Zulassung als belegt.