

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 Nonacog beta pegol gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 04.09.2023 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Nonacog beta pegol im Vergleich mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten im Alter von < 12 Jahren mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel).

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

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Nonacog beta pegol

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a
Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten im Alter von < 12 Jahren mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ^b	rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate
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. b. Es wird vorausgesetzt, dass es sich bei der Patientenpopulation in der vorliegenden Indikation um Faktor-IX-substitutionspflichtige Hämophiliepatientinnen und -patienten handelt. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer	

Der pU folgt der Festlegung des G-BA und wählt aus den dargestellten Optionen rekombinante Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate aus.

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) herangezogen. Für die prophylaktische Behandlung werden RCTs mit einer Mindestdauer von 6 Monaten herangezogen. Für die Bewertung der Bedarfsbehandlung ist eine Studiendauer von mindestens 50 Expositionstagen erforderlich.

Ergebnisse

Durch die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools wurde in Übereinstimmung mit dem pU keine direkt vergleichende RCT von Nonacog beta pegol gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie identifiziert.

Der pU stellt jedoch ergänzend die zulassungsbegründenden 1-armigen Studien Paradigm 5 und Paradigm 6 dar. Da diese Studien keinen Vergleich gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ermöglichen, sind sie nicht zur Bewertung des Zusatznutzens von Nonacog beta pegol geeignet.

Ergebnisse zum Zusatznutzen

Für Nonacog beta pegol zur Behandlung und Prophylaxe bei Patientinnen und Patienten im Alter von < 12 Jahren mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) liegen keine geeigneten Daten zur Bewertung des Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vor. Es ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Nonacog beta pegol 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 Nonacog beta pegol.

Tabelle 3: Nonacog beta pegol – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
Behandlung und Prophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten im Alter von < 12 Jahren mit Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ^b	rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate	Zusatznutzen nicht belegt
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. b. Es wird vorausgesetzt, dass es sich bei der Patientenpopulation in der vorliegenden Indikation um Faktor-IX-substitutionspflichtige Hämophiliepatientinnen und -patienten handelt. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.