

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 Concizumab gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 24.09.2025 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Concizumab zur Routineprophylaxe von Blutungen im Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Jahren mit mittelschwerer/schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, Faktor IX ≤ 2 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren.

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

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Concizumab

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^{a, b}
Routineprophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Jahren mit mittelschwerer/schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, Faktor IX ≤ 2 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren ^c	Routineprophylaxe mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten
<p>a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.</p> <p>b. Eine alleinige Bedarfsbehandlung ist in der vorliegenden Indikation keine adäquate zweckmäßige Vergleichstherapie. Eine zusätzliche Bedarfsbehandlung muss grundsätzlich in allen Studienarmen möglich sein.</p> <p>c. Es wird vorausgesetzt, dass es sich bei der Patientenpopulation in der vorliegenden Indikation um Faktor IX substituionspflichtige Hämophiliepatientinnen und -patienten handelt.</p> <p>G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss</p>	

Der pU folgt der Festlegung des G-BA zur zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die Ableitung des Zusatznutzens werden RCTs mit einer Minstdauer von 24 Wochen herangezogen. Dies entspricht den Einschlusskriterien des pU.

Ergebnisse

Durch die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools wurde übereinstimmend mit dem pU keine relevante randomisierte kontrollierte Studie (RCT) zum direkten Vergleich von Concizumab mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA identifiziert.

Der pU stellt in Anhang 4 G ergänzend die Ergebnisse der zulassungsbegründenden Studie explorer8 dar, zieht diese jedoch nicht zur Ableitung eines Zusatznutzens heran.

Übereinstimmend mit der Einschätzung des pU ist die Studie explorer8 nicht für die vorliegende Fragestellung geeignet, um Aussagen zum Zusatznutzen von Concizumab im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie abzuleiten.

Bei der Studie explorer8 handelt es sich um eine offene, multizentrische, teilweise randomisierte Zulassungsstudie von Concizumab. Eingeschlossen wurden männliche Erwachsene und Jugendliche (≥ 12 Jahre) mit angeborener schwerer Hämophilie A (Faktor VIII $< 1\%$) oder mittelschwerer / schwerer Hämophilie B (Faktor IX $\leq 2\%$) und einem Körpergewicht > 25 kg ohne Faktor-VIII- bzw. Faktor-IX-Inhibitoren ($\geq 0,6$ Bethesda Einheiten) in den letzten 5 Jahren.

Im randomisierten Teil der Studie wurde eine Routineprophylaxe mit Concizumab (Interventionsarm) mit einer Bedarfsbehandlung mit Faktorpräparaten (Kontrollarm) verglichen.

Der G-BA hat eine Routineprophylaxe mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten als zweckmäßige Vergleichstherapie festgelegt. Die Therapie im Vergleichsarm entspricht nicht der zweckmäßigen Vergleichstherapie, somit liegen keine Daten zum Vergleich von Concizumab mit der vom G-BA festgelegten Vergleichstherapie vor.

Ergebnisse zum Zusatznutzen

Da für die Nutzenbewertung keine relevante Studie vorliegt, ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Concizumab 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 Concizumab.

Tabelle 3: Concizumab – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^{a, b}	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
Routineprophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Jahren mit mittelschwerer/schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, Faktor IX \leq 2 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren ^c	Routineprophylaxe mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten	Zusatznutzen nicht belegt
<p>a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.</p> <p>b. Eine alleinige Bedarfsbehandlung ist in der vorliegenden Indikation keine adäquate zweckmäßige Vergleichstherapie. Eine zusätzliche Bedarfsbehandlung muss grundsätzlich in allen Studienarmen möglich sein.</p> <p>c. Es wird vorausgesetzt, dass es sich bei der Patientenpopulation in der vorliegenden Indikation um Faktor IX substituierungspflichtige Hämophiliepatientinnen und -patienten handelt.</p> <p>G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss</p>		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.