

IQWiG-Berichte – Nr. 421

**Albutrepenonacog alfa –  
Bewertung gemäß  
§ 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V**

**Dossierbewertung**

Auftrag: G16-03  
Version: 1.0  
Stand: 16.08.2016

# Impressum

**Herausgeber:**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

**Thema:**

Albutrepenonacog alfa – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V

**Auftraggeber:**

Gemeinsamer Bundesausschuss

**Datum des Auftrags:**

31.05.2016

**Interne Auftragsnummer:**

G16-03

**Anschrift des Herausgebers:**

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

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 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:**

Die vorliegende Bewertung erfolgte ohne die Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen).

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

- Miriam Luhn
- Sarah Mostardt
- Corinna ten Thoren

**Schlagwörter:** Albutrepenonacog alfa, Hämophilie B, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

**Keywords:** Albutrepenonacog alfa, Hemophilia B, Health Care Costs, Epidemiology

---

<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>1</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 .....	6
3.2.2 Verbrauch .....	6
3.2.3 Kosten.....	6
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	7
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	7
3.2.6 Versorgungsanteile .....	7
<b>3.3 Konsequenzen für die Bewertung</b> .....	<b>7</b>
<b>4 Zusammenfassung der Dossierbewertung</b> .....	<b>9</b>
<b>4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet</b> .....	<b>9</b>
<b>4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie</b> .....	<b>9</b>
<b>4.3 Anzahl der Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen</b> .....	<b>9</b>
<b>4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung</b> .....	<b>10</b>
<b>4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung</b> .....	<b>10</b>
<b>5 Literatur</b> .....	<b>11</b>

**Tabellenverzeichnis**

	<b>Seite</b>
Tabelle 1: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation.....	9
Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient.....	10

**Abkürzungsverzeichnis**

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
AMPreisV	Arzneimittelpreisverordnung
DHR	Deutsches Hämophileregister
EBM	einheitlicher Bewertungsmaßstab
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
HMG	hierarchisierte Morbiditätsgruppe
I.E.	Internationale Einheit
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Morbi-RSA	morbiditätsadjustierter Risikostrukturausgleich
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
WFH	World Federation of Hemophilia

## 1 Hintergrund

Albutrepenonacog alfa ist ein Medikament zur Behandlung der Hämophilie B 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 Sozialgesetzbuch (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 Angaben im Dossier des pU wurden unter Berücksichtigung der Anforderungen bewertet, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossievorlagen beschrieben sind (siehe Verfahrensordnung des G-BA [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.

### 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

---

<sup>2</sup> Nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

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 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

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

Die Hämophilie B stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar. Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß der Fachinformation von Albutrepenonacog alfa als Patienten mit Hämophilie B (kongenitaler Faktor-IX-Mangel) aller Altersgruppen [2].

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

Der pU stützt sich bei der Ermittlung der Anzahl der Patienten in der Zielpopulation auf Angaben des Deutschen Hämophilieregisters (DHR) und zum morbiditätsadjustierten Risikostrukturausgleich (Morbi-RSA).

Als Untergrenze setzt der pU die dem DHR für das Jahr 2014 gemeldeten 596 substitutionspflichtigen Patienten mit Hämophilie B an [3].

Zur Bestimmung der Obergrenze zieht er Angaben zum Morbi-RSA heran und berücksichtigt hierbei die hierarchisierten Morbiditätsgruppen (HMG) HMG035 (Hämophilie oder Willebrand-Jürgens-Syndrom mit Dauermedikation), HMG036 (Hämophilie: Männer mit Bedarfsmedikation), HMG043 (Hämophilie: Männer ohne Dauer- oder Bedarfsmedikation, Frauen mit Bedarfsmedikation) und HMG046 (Hämophilie: Frauen ohne Dauer- oder Bedarfsmedikation, Purpura und sonstige Gerinnungsstörungen). Auf Basis der Grundlagenbescheide I bis III/2015 und I/2016 [4-7] bildet er jeweils einen Durchschnitt für die Anzahl der Versicherten je HMG.

Der pU schätzt basierend auf Angaben der World Federation of Hemophilia (WFH) [8] und des DHR [3] den Anteil der Patienten mit Hämophilie B in der HMG035 auf 10 %. Für die HMG036 und HMG043 setzt er jeweils einen Anteil von 17,5 % an. Da der Anteil der Patienten mit Hämophilie B in der HMG046 als sehr gering eingeschätzt wird, berücksichtigt der pU diese nicht bei den weiteren Berechnungen. Es ergeben sich insgesamt 1426 Patienten mit Hämophilie B (240 in HMG035, 103 in HMG036 und 1083 in HMG043).

Im letzten Schritt setzt der pU einen GKV-Anteil von 86,5 % an und ermittelt so eine GKV-Zielpopulation von 529 bis 1233 Patienten.

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

Die Angaben des pU zur Größe der GKV-Zielpopulation sind für die Untergrenze in der Größenordnung plausibel. Da jedoch von einer Unvollständigkeit der meldenden Zentren sowie der gemeldeten Patienten auszugehen ist [9], stellen die Angaben tendenziell eine

Unterschätzung dar. Zudem ergeben sich bei 596 Patienten mit Hämophilie B und Annahme eines GKV-Anteils von 86,5 % nicht wie vom pU ausgewiesen 529 GKV-Patienten sondern 516.

Das Vorgehen zur Ermittlung der Obergrenze ist nicht in Gänze nachvollziehbar und führt zu einer erheblichen Unsicherheit. Laut Fachinformation ist Albutrepenonacog alfa für die „Therapie und Prophylaxe von Blutungen“ indiziert [2]; Patienten, die weder im Rahmen einer Bedarfsbehandlung noch einer Prophylaxe Faktor-IX-Blutgerinnungsfaktoren erhalten, fallen somit nicht in die Zielpopulation. Gemäß der Festlegungen zum Morbi-RSA für die Ausgleichsjahre 2015 und 2016 müssen zur Aufnahme in die Diagnosegruppe 226 „Hämophilie: Männer mit Bedarfsmedikation“ (HMG036) mindestens 42 Behandlungstage (oder 32 Behandlungstage bei Vorliegen mindestens einer stationären Diagnose) bzw. bei Kindern unter 12 Jahren mindestens 21 Behandlungstage (oder 11 Behandlungstage bei Vorliegen mindestens einer stationären Diagnose) erreicht werden [10,11]. Mit der HMG043 (Hämophilie: Männer ohne Dauer- oder Bedarfsmedikation, Frauen mit Bedarfsmedikation) werden daher auch Patienten mit der betreffenden ICD-Diagnose erfasst, denen Blutgerinnungsfaktoren an weniger als den hier genannten Behandlungstagen verordnet werden und die somit für die Bestimmung der Zielpopulation von Albutrepenonacog alfa relevant sind. Bei den aktuellen Festlegungskriterien des Morbi-RSA ist eine sichere Abgrenzung der Patienten mit und ohne Bedarfsmedikation und damit die Ermittlung der Zielpopulation im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht möglich. Es ist davon auszugehen, dass die Einbeziehung der gesamten HMG043 zu einer Überschätzung führt.

Zudem berücksichtigt der pU im letzten Schritt einen GKV-Anteil von 86,5 %. Dieses Vorgehen ist für die Ermittlung der GKV-Zielpopulation auf Basis der Angaben zum Morbi-RSA nicht korrekt, da die Daten ausschließlich GKV-Versicherte beinhalten.

Insgesamt ist die vom pU genannte Obergrenze aus den genannten Kritikpunkten mit erheblicher Unsicherheit verbunden.

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

Der pU geht davon aus, dass die Prävalenz der Hämophilie B in den nächsten Jahren nahezu unverändert bleibt. Auf Basis der Bevölkerungsvorausberechnung des Statistischen Bundesamtes [12] ermittelt er die Patientenzahlen für das Jahr 2020 unter Annahme einer konstanten Prävalenzrate.

### **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 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

### 3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer entsprechen der Fachinformation von Albutrepenonacog alfa [2].

### 3.2.2 Verbrauch

Der Verbrauch an Faktor-IX-Präparaten bei Patienten mit leichter und mittelschwerer Hämophilie B richtet sich nach dem jeweiligen Bedarf und ist individuell verschieden. Deshalb ermittelt der pU nur den theoretischen Verbrauch bei Patienten mit schwerer Hämophilie B und prophylaktischer Therapie gemäß der Fachinformation von Albutrepenonacog alfa [2].

Die Dosierung richtet sich nach dem Körpergewicht des Patienten. Angaben hierzu gewinnt der pU aus dem Mikrozensus 2013 des Statistischen Bundesamtes [13]. Er gibt ein mittleres Körpergewicht für die männliche Bevölkerung pro Altersgruppe an (unter 6 Jahre: 15 kg, 6 bis unter 12 Jahre: 32,5 kg, 12 bis unter 18 Jahre: 61,7 kg und Erwachsene: 84,3 kg).

Der pU legt seinen Berechnungen für alle Altersgruppen die laut Fachinformation übliche Dosierung von 35 bis 50 Internationalen Einheiten (I.E.) pro kg 1-mal wöchentlich zugrunde [2]. Für Patienten ab 12 Jahren berücksichtigt er zudem eine Dosierung von 75 I.E. pro kg alle 10 oder 14 Tage, mit der laut Fachinformation manche Patienten behandelt werden können, die auf das übliche Therapieschema gut eingestellt sind.

### 3.2.3 Kosten

Albutrepenonacog alfa ist mit Stand vom 01.06.2016 erstmalig in der Lauer-Taxe abrufbar. Da Faktor-IX-Präparate überwiegend nicht über die öffentlichen Apotheken, sondern direkt von Krankenhäusern und Hämophiliezentren vertrieben werden, listet die Lauer-Taxe nicht alle für die Kostenbestimmung relevanten Informationen. Deshalb hat der pU die Kosten näherungsweise unter Anwendung der Arzneimittelpreisverordnung (AMPreisV) [14] bestimmt, obwohl Faktor-IX-Präparate nach § 1 Abs. 3 AMPreisV nicht deren Geltungsbereich unterliegen. Da für Albutrepenonacog alfa in der Lauer-Taxe kein Apothekeneinkaufspreis ausgewiesen ist, ermittelt der pU diesen auf Basis des Herstellerabgabepreises unter Einbezug des Großhandelszuschlags. Von den ermittelten Kosten zieht er den Apothekenrabatt (1,77 €) ab.

Der G-BA hat in seinem Beschluss zu Efmorococog alfa zur Behandlung der Hämophilie A die Kosten von Faktor-VIII-Präparaten auf Basis des Direktbezugs (Herstellerabgabepreis zuzüglich Mehrwertsteuer) ermittelt [15]. Als Begründung hierfür nennt er ein aktuelles Urteil des Bundessozialgerichtes, wonach das Wirtschaftlichkeitsgebot auch in Bezug auf die Wahl des kostengünstigeren Bezugswegs zu beachten ist [16]. Auch für Albutrepenonacog alfa würden bei Zugrundelegung des Herstellerabgabepreises zuzüglich Mehrwertsteuer entsprechend niedrigere Kosten anfallen.

### 3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU stellt die Kosten für die Bestimmung des Faktors IX (EBM-Ziffer 32218) sowie für die Hemmkörperbestimmung (EBM-Ziffer 32227) dar. Da die Häufigkeit dieser Bestimmungen aber patientenindividuell verschieden ist und kein regelhafter Unterschied in der Inanspruchnahme zusätzlich notwendiger GKV-Leistungen zwischen Albutrepenonacog alfa und anderen Faktor-IX-Präparaten zu erwarten ist, berücksichtigt der pU diese Kosten nicht bei der Berechnung der Jahrestherapiekosten.

### 3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU beziffert die Jahrestherapiekosten der prophylaktischen Therapie mit Albutrepenonacog alfa pro Patient und Jahr mit:

- 136 204,12 €(Alter unter 6 Jahre),
- 223 841,80 €bis 314 367,56 €(Alter 6 bis unter 12 Jahre),
- 399 117,16 €bis 599 885,07 €(Alter 12 bis unter 18 Jahre),
- 531 602,24 €bis 818 868,46 €(Erwachsene).

Es ergeben sich entsprechend niedrigere Arzneimittelkosten pro Patient und Jahr, wenn den Berechnungen nur die jeweiligen Herstellerabgabepreise der verschiedenen Packungsgrößen zuzüglich Mehrwertsteuer zugrunde gelegt werden (Direktbezug).

Für die Bedarfstherapie gibt der pU keine Kosten an, da diese patientenindividuell unterschiedlich ist.

### 3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU schätzt die Anzahl der Neuerkrankungen der Hämophilie B auf 7 bis 12 pro Jahr und geht davon aus, dass ein Großteil dieser Patienten mit Albutrepenonacog alfa behandelt wird. Für die Versorgungsanteile der prophylaktischen Therapie an den vorbehandelten Patienten sowie der Bedarfsbehandlung macht der pU keine konkreten Angaben.

## 3.3 Konsequenzen für die Bewertung

Die Angaben des pU zur Größe der GKV-Zielpopulation sind für die Untergrenze in der Größenordnung plausibel, wenn auch mit Unsicherheit verbunden. Die Obergrenze ist mit erheblicher Unsicherheit verbunden, weil die aktuellen Festlegungskriterien des Morbi-RSA eine sichere Abgrenzung der Patienten mit und ohne Bedarfsmedikation und damit die Ermittlung der Zielpopulation im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht ermöglichen.

Da Faktor-IX-Präparate überwiegend von Krankenhäusern und Hämophiliezentren direkt vertrieben werden und keine öffentlichen Kostendatenquellen verfügbar sind, bestimmt der pU die Kosten näherungsweise unter Anwendung der AMPPreisV. Die tatsächlichen Preise können aber aufgrund von individuellen Verträgen zwischen Krankenhäusern bzw.

Hämophiliezentren und pharmazeutischen Unternehmern abweichen. Es ergeben sich entsprechend niedrigere Arzneimittelkosten pro Patient und Jahr, wenn den Berechnungen die jeweiligen Herstellerabgabepreise der verschiedenen Packungsgrößen zuzüglich Mehrwertsteuer (Direktbezug) zugrunde gelegt werden.

## 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

### 4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet

Albutrepenonacog alfa ist indiziert zur Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie B (kongenitaler Faktor-IX-Mangel) aller Altersgruppen.

### 4.2 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.

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

Tabelle 1: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation <sup>a</sup>	Kommentar
Albutrepenonacog alfa	Patienten mit Hämophilie B (kongenitaler Faktor-IX-Mangel) aller Altersgruppen	529–1233	Die Angaben des pU sind für die Untergrenze in der Größenordnung plausibel, wenn auch mit Unsicherheit verbunden. Die Obergrenze ist mit erheblicher Unsicherheit verbunden.
a: Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

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

Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Jahrestherapiekosten pro Patient in € <sup>a</sup>	Kommentar
Albutrepenonacog alfa	Patienten mit Hämophilie B (kongenitaler Faktor-IX-Mangel) aller Altersgruppen davon:		Es ergeben sich entsprechend niedrigere Arzneimittelkosten pro Patient und Jahr, wenn den Berechnungen nur die jeweiligen Herstellerabgabepreise der verschiedenen Packungsgrößen zuzüglich Mehrwertsteuer zugrunde gelegt werden.
	Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit schwerer Hämophilie B		
	Alter unter 6 Jahre	136 204,12	
	Alter 6 bis unter 12 Jahre	223 841,80– 314 367,56	
	Alter 12 bis unter 18 Jahre	399 117,16– 599 885,07	
	Erwachsene	531 602,24– 818 868,46	
	Bedarfstherapie, alle Altersstufen	patientenindividuell unterschiedlich	Die Kosten der Bedarfstherapie sind patientenindividuell unterschiedlich.
a: Angabe des pU. Die Jahrestherapiekosten entsprechen den Arzneimittelkosten. GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

#### 4.5 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.



## 5 Literatur

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. 16.04.2015 [Zugriff: 29.04.2015]. URL: [https://www.g-ba.de/downloads/62-492-1002/VerfO\\_2014-12-18\\_iK-2015-04-16.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/62-492-1002/VerfO_2014-12-18_iK-2015-04-16.pdf).
2. CSL Behring. Idelvion 250 I.E./500 I.E./1000 I.E./2000 I.E. Pulver und Lösungsmittel zur Herstellung einer Injektionslösung: Fachinformation [online]. 03.2016 [Zugriff: 17.05.2016]. URL: <http://www.fachinfo.de>.
3. Paul Ehrlich-Institut. Angaben zu Personen mit angeborenen Hämostasestörungen der Jahre 2008 bis 2014 [online]. 02.11.2015 [Zugriff: 04.08.2016]. URL: <http://www.pei.de/DE/infos/fachkreise/dhr-deutsches-haemophileregister/daten/berichte/dhr-berichte-node.html>.
4. Bundesversicherungsamt. Grundlagenbescheid III/2015: Risikogruppenanteile [online]. 30.09.2015 [Zugriff: 30.12.2015]. URL: <http://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/info-dateien-und-auswertungen/risikogruppenanteile.html>.
5. Bundesversicherungsamt. Grundlagenbescheid II/2015: Risikogruppenanteile [online]. 31.03.2015 [Zugriff: 30.12.2015]. URL: <http://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/info-dateien-und-auswertungen/risikogruppenanteile.html>.
6. Bundesversicherungsamt. Grundlagenbescheid I/2015: Risikogruppenanteile [online]. 14.11.2014 [Zugriff: 30.12.2015]. URL: <http://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/info-dateien-und-auswertungen/risikogruppenanteile.html>.
7. Bundesversicherungsamt. Grundlagenbescheid I/2016: Risikogruppenanteile [online]. 16.11.2015 [Zugriff: 30.12.2015]. URL: <http://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/info-dateien-und-auswertungen/risikogruppenanteile.html>.
8. World Federation of Hemophilia. Report on the annual global survey 2014 [online]. 2015 [Zugriff: 04.08.2016]. URL: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1627.pdf>.
9. Hesse J, Haschberger B, Heiden M, Seitz R, Schramm W. Neue Daten aus dem Deutschen Hämophileregister. Hamostaseologie 2013; 33(Suppl 1): S15-S21.
10. Bundesversicherungsamt. Anlage 2 zu den Festlegungen nach § 31 Abs. 4 RSAV vom 30.09.2014: DxGruppen-spezifische Aufgreifkriterien nach Krankheit [online]. 30.09.2014 [Zugriff: 27.06.2016]. URL: <http://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/festlegungen.html#c4367>.

11. Bundesversicherungsamt. Anlage 2 zu den Festlegungen nach § 31 Abs. 4 RSAV vom 30.09.2015: DxGruppen-spezifische Aufgreifkriterien nach Krankheit [online]. 30.09.2015 [Zugriff: 27.06.2016]. URL: <http://www.bundesversicherungsamt.de/risikostrukturausgleich/festlegungen.html#c4367>.
12. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung Deutschlands bis 2060: Ergebnisse der 13. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung [online]. 28.04.2015 [Zugriff: 04.08.2016]. URL: [https://www.destatis.de/DE/Publikationen/Thematisch/Bevoelkerung/VorausberechnungBevoelkerung/BevoelkerungDeutschland2060\\_5124202159004.pdf?\\_\\_blob=publicationFile](https://www.destatis.de/DE/Publikationen/Thematisch/Bevoelkerung/VorausberechnungBevoelkerung/BevoelkerungDeutschland2060_5124202159004.pdf?__blob=publicationFile).
13. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung aus dem Jahr 2013 [online]. 05.11.2014 [Zugriff: 11.12.2015]. URL: <http://www.gbe-bund.de>.
14. Arzneimittelpreisverordnung (AMPreisV) [online]. 27.03.2014 [Zugriff: 28.12.2015]. URL: <http://www.gesetze-im-internet.de/ampreisv/BJNR021470980.html>.
15. Gemeinsamer Bundesausschuss. Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL); Anlage XII: Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V; Efmorococog alfa [online]. 16.06.2016 [Zugriff: 20.06.2016]. URL: [https://www.g-ba.de/downloads/40-268-3824/2016-06-16\\_AM-RL-XII\\_Efmorococog-alfa\\_D-195\\_TrG.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/40-268-3824/2016-06-16_AM-RL-XII_Efmorococog-alfa_D-195_TrG.pdf).
16. Bundessozialgericht. Urteil: Aktenzeichen B 6 KA 18/14 R [online]. 13.05.2016 [Zugriff: 20.06.2016]. URL: <http://juris.bundessozialgericht.de/cgi-bin/rechtsprechung/document.py?Gericht=bsg&Art=en&nr=14003>.