



IQWiG-Berichte – Nr. 1028

**Burosumab  
(X-chromosomal gebundene  
Hypophosphatämie bei  
Erwachsenen) –**

**Bewertung gemäß  
§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V**

**Dossierbewertung**

Auftrag: G20-27  
Version: 1.0  
Stand: 27.01.2021

# Impressum

## **Herausgeber**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## **Thema**

Burosumab (X-chromosomal gebundene Hypophosphatämie bei Erwachsenen) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

## **Auftraggeber**

Gemeinsamer Bundesausschuss

## **Datum des Auftrags**

29.10.2020

## **Interne Auftragsnummer**

G20-27

## **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 einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen.

**An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG**

- Stefan Kobza
- Nadia Abu Rajab
- Anja Schwalm

**Schlagwörter:** Burosumab, Familiäre Hypophosphatämische Rachitis, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

**Keywords:** Burosumab, Familial Hypophosphatemic Rickets, Health Care Costs, Epidemiology

# 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 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie</b> .....	<b>4</b>
<b>3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)</b> .....	<b>4</b>
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	4
<b>3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)</b> .....	<b>6</b>
3.2.1 Behandlungsdauer .....	7
3.2.2 Verbrauch .....	7
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels .....	7
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	7
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	7
3.2.6 Versorgungsanteile .....	7
<b>4 Zusammenfassung der Dossierbewertung</b> .....	<b>9</b>
<b>4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete</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 Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen</b> .....	<b>9</b>
<b>4.4 Kosten der Therapie für die GKV</b> .....	<b>10</b>
<b>4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung</b> .....	<b>11</b>
<b>5 Literatur</b> .....	<b>12</b>

**Tabellenverzeichnis**

	<b>Seite</b>
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	4
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	9
Tabelle 3: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr .....	10

**Abkürzungsverzeichnis**

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
CPRD	Clinical Practice Research Datalink
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme)
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
NAKSE	Nationale Konferenz zu Seltenen Erkrankungen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
STROSA	Standardisierte Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen
XLH	X-linked Hypophosphataemia (X-chromosomal gebundene Hypophosphatämie)

## 1 Hintergrund

Burosumab ist ein Arzneimittel zur Behandlung der X-chromosomal gebundenen Hypophosphatämie (XLH). Burosumab ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen<sup>1</sup> ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels innerhalb der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) binnen 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen gegenüber der 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 11 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

- zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und
- zu den Kosten der Therapie für die GKV

zu bewerten.

### 1.1 Verlauf des Projekts

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG.

Bei der Kommentierung der Angaben im Dossier des pU werden die Anforderungen berücksichtigt, 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 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. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss

---

<sup>1</sup> nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)).



## 2 Nutzenbewertung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Aus diesem Grund ist die Bewertung des Zusatznutzens nicht Gegenstand dieses Berichts.

### 3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

#### 3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und 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

Der pU stellt die Erkrankung der XLH nachvollziehbar und plausibel dar.

Unter Berücksichtigung des Auftrags des G-BA und der Fachinformation von Burosumab [2] besteht die Zielpopulation aus Erwachsenen mit XLH.

Der pU schränkt die Zielpopulation weiter auf diejenigen Erwachsenen mit XLH ein, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen. Der Fachinformation [2] ist diese Einschränkung nicht zu entnehmen. Dies wird in Abschnitt 3.1.2 (siehe dort Schritt 3 und die zugehörige Bewertung) adressiert.

##### 3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Personenzahl)
1	Erwachsene in der GKV	-	61 224 389
2	Erwachsene mit XLH in der GKV	6,7–13,3 von 1 000 000	410–814
3	Erwachsene mit XLH in der GKV, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen	98,4 %	404–801

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; XLH: X-chromosomal gebundene Hypophosphatämie

#### Schritt 1: Erwachsene in der GKV

Auf Basis der im GKV-Ausgabenprofil 2018 für Erwachsene angegebenen Summe der Versicherungstage [3] berechnet der pU eine Anzahl von 61 224 389 Erwachsenen in der GKV (22 346 901 902/365 Tage).

#### Schritt 2: Erwachsene mit XLH in der GKV

Der pU zieht eine Studie von Hawley et al. aus dem Jahr 2020 [4] heran, in der die Prävalenz der XLH bei Kindern und Erwachsenen im Vereinigten Königreich untersucht wurde. Zur

Schätzung der Prävalenz wurde der Datensatz UK Clinical Practice Research Datalink (CPRD) GOLD ausgewertet, der im Jahr 2013 mehr als 11,3 Millionen Patientinnen und Patienten von 674 Allgemeinarztpraxen umfasste und eine repräsentative Abdeckung von ca. 7 % der Bevölkerung des Vereinigten Königreichs darstellte. Im CPRD wird die Read-Codierung verwendet, ein von Dr. James Read entwickeltes System, das mehr als 100 000 Codes für klinische Ereignisse in der Grundversorgung enthält und ähnlich strukturiert wurde wie die Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme (ICD). Auf Basis bestimmter Read-Codes wurden Personen mit potenzieller XLH-Diagnose für den Zeitraum der Jahre 1995 bis 2016 identifiziert (n = 522). Anschließend wurde je identifizierter Person auf Basis weiterer Daten der hausärztlichen Grundversorgung eine Einschätzung zur Wahrscheinlichkeit des Vorliegens einer XLH vorgenommen (Abstufungen: sehr wahrscheinlich, wahrscheinlich, möglich, unwahrscheinlich, unbestimmbar). Personen, für die demnach das Vorliegen einer XLH wahrscheinlich oder sehr wahrscheinlich war, stellten die Basis für die Schätzung der unteren Grenze der Prävalenz dar (von 1 Million Personen ab 16 Jahren 6,7 mit XLH im Zeitraum der Jahre 2012 bis 2016). Die zusätzliche Berücksichtigung von Personen mit **möglichem** Vorliegen einer XLH stellte die Basis für die Schätzung der oberen Grenze der Prävalenz dar (von 1 Million Personen ab 16 Jahren 13,3 mit XLH im zuletzt genannten Zeitraum).

Durch Multiplikation beider Grenzen mit der Anzahl Erwachsener aus Schritt 1 gibt der pU eine Anzahl von 410 bis 814 Erwachsenen mit XLH in der GKV an.

### **Schritt 3: Erwachsene mit XLH in der GKV, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen**

Den Angaben des pU zufolge wurden 123 von 125 Erwachsenen (98,4 %) mit XLH aus der Zulassungsstudie UX023-CL303 bereits für mindestens 1 Jahr mit einer Phosphatsubstitution behandelt und sprachen darauf nicht an. Der pU argumentiert, für diese Teilpopulation stehe keine den Pathomechanismus beeinflussende Behandlungsoption zur Verfügung. Daher stelle diese Teilpopulation die eigentliche Zielpopulation dar und sei für eine Burosumab-Therapie geeignet. Entsprechend veranschlagt der pU den Anteilswert von 98,4 % auf das Ergebnis aus Schritt 2 und gibt somit eine Anzahl von 404 bis 801 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation an.

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

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch nachvollziehbar. Die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation stellt dennoch eine Unterschätzung dar. Die Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden dargestellt.

### ***Zu Schritt 2***

Der pU gibt an, es liege nur die von ihm herangezogene Quelle [4] vor, die detaillierte Rückschlüsse auf die Prävalenz der XLH bei Erwachsenen ermögliche. Dabei ist unklar, weshalb er nicht eine weitere Quelle berücksichtigt, auf die er bereits in seinen Stellungnahmen [5] im

1. Nutzenbewertungsverfahren zu Burosumab im Jahr 2018 hingewiesen hatte. Dabei handelt es sich um eine von ihm finanzierte Analyse von Krankenkassenabrechnungsdaten, für die zum damaligen Zeitpunkt lediglich ein Abstract [6] vorlag. Eine Veröffentlichung als Vollpublikation liegt aktuell nicht vor. Jedoch wurden im Rahmen der vorliegenden Bewertung weitere Informationen zur vom pU finanzierten Analyse in Form eines Posters [7] identifiziert, das bei der Nationalen Konferenz zu Seltenen Erkrankungen (NAKSE) im September 2019 vorgestellt wurde. Das Poster weist bei einem Ausschluss aller im Jahr 2010 diagnostizierten Patientinnen und Patienten – also bei ausschließlicher Berücksichtigung von im Zeitraum der Jahre 2011 bis 2013 diagnostizierten Patientinnen und Patienten – eine auf die deutsche Bevölkerung hochgerechnete Anzahl von 2176 Patientinnen und Patienten mit XLH aus, davon 370 Kinder und Jugendliche und somit 1806 Erwachsene (vor Veranschlagung eines GKV-Anteils). Die Validität dieser Angaben ist aufgrund der Datenquelle in Ermangelung weiterer Details zur Analyse unklar. Für präzisere Angaben wäre eine Volltextpublikation orientiert an Berichtsstandards wie der Standardisierten Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen (STROSA) [8] wünschenswert.

Zusätzlich wird in der vom pU herangezogenen Quelle [4] auf eine mögliche Unterschätzung der Prävalenz hingewiesen. Ein Grund hierfür ist, dass in der zugehörigen Prävalenzschätzung Personen mit unbestimmbarer Wahrscheinlichkeit des Vorliegens einer XLH nicht berücksichtigt wurden. Darüber hinaus ist unklar, ob weitere Read-Codes zur Identifikation von Erwachsenen mit XLH hätten berücksichtigt werden müssen.

In der Gesamtschau ist eine höhere Anzahl an Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation anzunehmen als vom pU angegeben.

### ***Zu Schritt 3***

Die Einschränkung auf Patientinnen und Patienten, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen, ergibt sich nicht aus dem zugelassenen Anwendungsgebiet gemäß Abschnitt 4.1 der Fachinformation [2]. Die Einschränkung ist somit nicht vorzunehmen und trägt – wenn auch in geringem Ausmaß – zur Unterschätzung bei.

Die Unterscheidung von Patientinnen und Patienten der Zielpopulation, die eine versus die keine Behandlung mit Burosumab erhalten werden, ist ein Aspekt der geforderten Angabe zur Höhe der Versorgungsanteile und wird daher in Abschnitt 3.2.6 adressiert.

### **Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten**

Da die XLH eine genetische Erkrankung ist, geht der pU für die künftigen Jahre bis 2024 von einer konstanten Prävalenz und Inzidenz aus. Entsprechend leitet er für diese Jahre keine Änderung der Anzahl der Erwachsenen mit XLH in der GKV ab.

### **3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)**

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

### 3.2.1 Behandlungsdauer

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

Da in der Fachinformation [2] keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert ist, wird in der vorliegenden Bewertung rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Behandlungsdauer patientenindividuell unterschiedlich ist. Dies entspricht dem Vorgehen des pU.

### 3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der in der Fachinformation [2] empfohlenen Anfangsdosis.

Der Verbrauch von Burosumab richtet sich nach dem Körpergewicht. Der pU legt für seine Berechnungen das durchschnittliche Körpergewicht Erwachsener (77 kg) gemäß den aktuellen Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamts aus dem Jahr 2017 [9] zugrunde.

Bei einer Dosisanpassung kann ein abweichender Verbrauch entstehen, wobei die Höchstdosis gemäß Fachinformation 90 mg alle 4 Wochen beträgt [2].

### 3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Burosumab geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.09.2020 wieder.

Die Arzneimittelkosten enthalten den vorübergehend abgesenkten und bis zum 31.12.2020 befristeten Mehrwertsteuersatz von 16 % (Zweites Corona-Steuerhilfegesetz [10]).

### 3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU setzt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an. Dies ist auf Basis der Fachinformation [2] nachvollziehbar.

### 3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Burosumab Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 317 179,20 € Diese Angabe besteht ausschließlich aus Arzneimittelkosten. Sie ist beim vom pU veranschlagten Verbrauch plausibel. Bei abweichendem Verbrauch (bis zu 90 mg alle 4 Wochen [2], siehe Abschnitt 3.2.2) können abweichende Jahrestherapiekosten entstehen.

### 3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU gibt an, dass eine Burosumab-Behandlung für Erwachsene mit XLH angestrebt wird, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen. Der pU nimmt auf Basis der Zulassungsstudie UX023-CL303 an, dass dieser Teilpopulation 98,4 % der behandlungsbedürftigen Erwachsenen mit XLH zuzuordnen sind.

Die Kontraindikationen von Burosumab gibt der pU weitgehend korrekt wieder. Abweichend von der Angabe des pU sollte bei einer schweren Niereninsuffizienz oder terminalen Niereninsuffizienz nicht das Nutzen-Risiko-Verhältnis abgewogen werden, sondern Burosumab darf in diesen Fällen nicht angewendet werden [2].

Der pU gibt an, dass keine validen Angaben über die Entwicklung der Versorgungsanteile gemacht werden können. Er ergänzt, dass er jedoch die BUR-GER-Studie an einem Studienzentrum in Deutschland durchführt, in die Erwachsene mit XLH eingeschlossen werden und die hauptsächlich der Darstellung des Versorgungskontexts in Deutschland dient.

## 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

### 4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Burosumab wird angewendet zur Behandlung der XLH bei Kindern und Jugendlichen im Alter von 1 bis 17 Jahren mit röntgenologischem Nachweis einer Knochenerkrankung und bei Erwachsenen.

Die vorliegende Bewertung bezieht sich ausschließlich auf die Anzahl der erwachsenen Patientinnen und Patienten sowie auf die zugehörigen Kosten der Therapie.

### 4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

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

Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten <sup>a</sup>	Kommentar
Burosumab	Erwachsene mit XLH <sup>b</sup>	404–801	<p>Die Spanne stellt aus folgenden Gründen eine Unterschätzung dar:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Es wurde zusätzlich zu den vom pU herangezogenen Quellen eine vom pU finanzierte Routinedatenanalyse für Deutschland identifiziert, die eine höhere Anzahl Erwachsener mit XLH ausweist als vom pU im Dossier angegeben. Zusätzlich wird in der vom pU herangezogenen Quelle zur Prävalenz auf eine mögliche Unterschätzung hingewiesen. In der Gesamtschau ist eine höhere Anzahl an Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation anzunehmen als vom pU angegeben.</li> <li>▪ Die vom pU vorgenommene Einschränkung auf Patientinnen und Patienten, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen, ist nicht vorzunehmen und trägt – wenn auch in geringem Ausmaß – zur Unterschätzung bei.</li> </ul>
<p>a. Angabe des pU</p> <p>b. Der pU schränkt die Zielpopulation weiter auf Erwachsene mit XLH ein, die innerhalb 1 Jahres nicht auf eine Phosphatsubstitution ansprechen. Auf diese Teilpopulation bezieht sich die Angabe des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten.</p> <p>GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; XLH: X-chromosomal gebundene Hypophosphatämie</p>			

**4.4 Kosten der Therapie für die GKV**

Tabelle 3: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in €	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in €	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in €	Jahrestherapiekosten in €	Kommentar
Burosumab	Erwachsene mit XLH	317 179,20 <sup>b</sup>	0	0	317 179,20	Die Angaben des pU sind beim von ihm veranschlagten Verbrauch plausibel. Bei abweichendem Verbrauch (bis zu 90 mg alle 4 Wochen [2]) können abweichende Jahrestherapiekosten entstehen.
<p>a. Angabe des pU  b. Die Angabe beruht auf einem Mehrwertsteuersatz von 16 %.</p> <p>GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; XLH: X-chromosomal gebundene Hypophosphatämie</p>						



#### **4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung**

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Der entsprechende Auftrag des G-BA an das IQWiG beschränkt sich darauf, das Dossier des pU allein im Hinblick auf die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und zu den Kosten der Therapie für die GKV zu bewerten. Die Angaben des pU zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung bleiben daher in der vorliegenden Dossierbewertung unberücksichtigt.

## 5 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/richtlinien/42/>.
2. Kyowa Kirin. CRYSVITA 10/20/30 mg Injektionslösung [online]. 2020 [Zugriff: 02.11.2020]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
3. Bundesamt für Soziale Sicherung. GKV-Ausgabenprofile nach Alter, Geschlecht und Hauptleistungsbereichen, 1996-2018 [online]. 2019 [Zugriff: 06.10.2020]. URL: <https://www.bundesamtsozialesicherung.de/de/themen/risikostrukturausgleich/datenzusammenstellungen-und-auswertungen/>.
4. Hawley S, Shaw NJ, Delmestri A et al. Prevalence and Mortality of Individuals With X-Linked Hypophosphatemia: A United Kingdom Real-World Data Analysis. *J Clin Endocrinol Metab* 2020; 105(3): e871-e878.
5. Gemeinsamer Bundesausschuss. Zusammenfassende Dokumentation über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII – Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V; Burosumab [online]. 2018 [Zugriff: 09.11.2020]. URL: [https://www.g-ba.de/downloads/40-268-5583/2018-10-04\\_AM-RL-XII\\_Burosumab\\_D-349\\_ZD.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/40-268-5583/2018-10-04_AM-RL-XII_Burosumab_D-349_ZD.pdf).
6. Doess A, May M, Feig C et al. Real World Evidence of Hereditary Hypophosphatemia in Germany – Analysis of German SHI Claims Data for Pediatric Patients. *Value Health* 2018; 21(Suppl 3): S466. <https://dx.doi.org/10.1016/j.jval.2018.09.2746>.
7. Doess A, May M, Feig C et al. Versorgungsrealität pädiatrischer Patienten mit familiärer hypophosphatämischer Rachitis auf Basis einer GKV-Routinedatenanalyse in Deutschland [online]. 2019 [Zugriff: 09.11.2020]. URL: [https://www.achse-online.de/de/was\\_tut\\_ACHSE/nakse/PDF/S6\\_Doess.pdf](https://www.achse-online.de/de/was_tut_ACHSE/nakse/PDF/S6_Doess.pdf).
8. Swart E, Bitzer EM, Gothe H et al. STandardisierte BerichtsROutine für Sekundärdaten Analysen (STROSA): ein konsentierter Berichtsstandard für Deutschland, Version 2. *Gesundheitswesen* 2016; 78(Suppl 1): e145-e160. <https://dx.doi.org/10.1055/s-0042-108647>.
9. Statistisches Bundesamt. Mikrozensus: Fragen zur Gesundheit; Körpermaße der Bevölkerung; 2017 [online]. 2018 [Zugriff: 27.09.2019]. URL: [https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Publikationen/Downloads-Gesundheitszustand/koerpermasse-5239003179004.pdf?\\_\\_blob=publicationFile&v=4](https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Publikationen/Downloads-Gesundheitszustand/koerpermasse-5239003179004.pdf?__blob=publicationFile&v=4).
10. Zweites Gesetz zur Umsetzung steuerlicher Hilfsmaßnahmen zur Bewältigung der Corona-Krise (Zweites Corona-Steuerhilfegesetz). *Bundesgesetzblatt Teil I* 2020; (31): 1512-1516.