



IQWiG-Berichte – Nr. 1463

**Efgartigimod alfa  
(generalisierte Myasthenia  
gravis) –**

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

**Dossierbewertung**

Auftrag: G22-29  
Version: 1.0  
Stand: 25.11.2022

# Impressum

## **Herausgeber**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## **Thema**

Efgartigimod alfa (generalisierte Myasthenia gravis) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz  
11 SGB V

## **Auftraggeber**

Gemeinsamer Bundesausschuss

## **Datum des Auftrags**

31.08.2022

## **Interne Auftragsnummer**

G22-29

## **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**

Für die vorliegende Dossierbewertung stand keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen zur Verfügung.

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

- Sarah Mostardt
- Mandy Kromp
- Dominik Schierbaum
- Anja Schwalm

### **Schlagwörter**

Efgartigimod alfa, Myasthenia gravis, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

### **Keywords**

Efgartigimod alfa, Myasthenia Gravis, 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>2</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 .....	6
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.....	8
3.2.6 Versorgungsanteile .....	8
<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>
AChR-AK	Anti-Acetylcholinrezeptor-Antikörper
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
gMG	generalisierte Myasthenia gravis
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD-10-GM	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10, German Modification (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation)
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

## 1 Hintergrund

Efgartigimod alfa ist ein Arzneimittel zur Behandlung der generalisierten Myasthenia gravis (gMG). Efgartigimod alfa 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.

Für die vorliegende Bewertung war die Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) vorgesehen. Allerdings konnten keine externen Sachverständigen, die die notwendigen Voraussetzungen (fachlich-klinische und -wissenschaftliche Expertise, keine gravierenden Interessenkonflikte, kurzfristige zeitliche Verfügbarkeit) erfüllen, über die vorgesehenen Prozesse identifiziert werden.

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.

---

<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

## **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 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

Die gMG stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Efgartigimod alfa [2]. Demnach wird Efgartigimod alfa zusätzlich zur Standardtherapie zur Behandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit gMG angewendet, die Anti-Acetylcholinrezeptor-Antikörper (AChR-AK) positiv sind.

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

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der GKV in 2 Schritten. Das Vorgehen des pU wird in Tabelle 1 zusammengefasst und anschließend näher erläutert.

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

Schritt	Bezeichnung	Anteil (%)	Anzahl (N)
1	Prävalenz der gMG in der GKV (25,5 pro 100 000) im Jahr 2020		18 685
2	Patientinnen und Patienten mit gMG, die AChR-AK positiv sind	75–90	14 014–16 816

AChR-AK: Anti-Acetylcholinrezeptor-Antikörper; gMG: generalisierte Myasthenia gravis; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer

##### Schritt 1: Prävalenz der gMG in der GKV

Der pU bestimmt die Prävalenz der Patientinnen und Patienten mit gMG auf Grundlage einer Routinedatenanalyse von anonymisierten Abrechnungsdaten von etwa 6 Millionen Versicherten aus der Datenbank der Gesellschaft für Wirtschaftlichkeit und Qualität bei Krankenkassen (GWQ) ServicePlus AG. Es handelt sich hierbei um Daten von Betriebskrankenkassen (BKK) aus den Jahren 2010 bis 2020 [3]. Dabei wurde wie folgt vorgegangen:

Zunächst wurden alle Patienten identifiziert, die die Diagnose Myasthenia gravis mindestens 1-mal stationär (als bestätigte primäre oder sekundäre Diagnose) oder gesichert 2-mal ambulant in 2 verschiedenen Quartalen (M2Q-Kriterium) aufwiesen. Für diesen Schritt wurde der Code G70.0 (Myasthenia gravis) der internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation (ICD-10-GM) herangezogen.

Anschließend wurde die Population aufgrund des Anwendungsgebietes von Efgartigimod alfa weiter anhand folgender Kriterien eingeschränkt:

- Mindestalter von 18 Jahren im Analysejahr,
- mindestens 1 Verschreibung von Acetylcholinesteraseinhibitoren in mindestens 4 unterschiedlichen Quartalen und
- Beobachtungszeitraum von mindestens 1 Jahr nach der 1. gesicherten G70.0-Diagnose.

Da Efgartigimod alfa für die generalisierte Form der Myasthenia gravis zugelassen ist, wurde versucht, die Population in einem 3. Herleitungsschritt auf Patientinnen und Patienten mit gMG einzuschränken. Da kein spezifischer Diagnosecode gemäß ICD-10-GM für die gMG zur Verfügung steht, operationalisiert der pU das Vorliegen einer gMG über das Fachgebiet der diagnosestellenden Ärztin bzw. des diagnosestellenden Arztes. Aufgrund dessen wurden nur Patientinnen und Patienten mit einer Myasthenia gravis-Diagnose aus dem ambulanten Bereich durch eine Fachärztin für Neurologie bzw. durch einen Facharzt für Neurologie eingeschlossen. Diese wurden anhand der Fachgruppenschlüssel 51 und 53 der lebenslangen Arztnummer identifiziert.

Die auf Basis der in der Stichprobe ermittelten Prävalenzraten wurden anschließend stratifiziert nach Altersgruppen und Geschlecht auf die Gesamtzahl der GKV-Versicherten hochgerechnet. Für das Jahr 2020 schätzt der pU insgesamt eine Prävalenzrate für die gMG von 25,5 pro 100 000 Personen in der GKV.

Anschließend wendet der pU die ermittelte Prävalenzrate für das Jahr 2020 von 25,5 pro 100 000 Personen unter Berücksichtigung der Altersverzerrung in der Stichprobe auf die Gesamtzahl der GKV-Versicherten im gleichen Jahr (73 274 131 Versicherte [4]) an. Auf diese Weise ermittelt er eine Prävalenz der gMG von 18 685 Patientinnen und Patienten in der GKV.

### **Schritt 2: erwachsene Patientinnen und Patienten in der GKV mit gMG, die AChR-AK positiv sind**

Die Abschätzung des Anteils AChR-AK positiver Patientinnen und Patienten erfolgt auf Basis von 4 vom pU ausgewählten Publikationen [5-8]. Diesen entnimmt er jeweils die dort berichteten Anteilswerte für das Vorliegen von AChR-AK und bildet anschließend eine Spanne.

Der deutschen Leitlinie „Diagnostik und Therapie der Myasthenia gravis und des Lambert-Eaton-Syndroms“ aus dem Jahr 2017 entnimmt der pU, dass bei ca. 85 % der Patientinnen und Patienten mit Myasthenia gravis AChR-AK vorliegen [6]. Gilhus et al. (2016) berichten in einem Übersichtsartikel, dass es unterschiedliche Angaben zum Anteil der Patientinnen und Patienten, die AChR-AK positiv sind, gibt, die zwischen 75 und 85 % liegen. Leite et al. (2008) geben an, dass ca. 80 % der Patientinnen und Patienten mit gMG AChR-AK positiv sind. Conti-Fine et. al. (2006) berichten in einem weiteren Übersichtsartikel, dass ca. 80 % bis 90 % der

Patientinnen und Patienten mit gMG AChR-AK positiv sind. Der pU bildet aus diesen Angaben eine Spanne von 75 % bis 90 %.

Diese Anteilsspanne überträgt der pU auf das Ergebnis aus Schritt 1 und ermittelt auf diese Weise eine Anzahl von 14 014 bis 16 816 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

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

Die vom pU hergeleitete Angaben zu GKV-Zielpopulation ist mit Unsicherheit behaftet. Die Gründe hierfür werden im Folgenden beschrieben:

#### ***Zu Schritt 1: Prävalenz der gMG in der GKV***

Der pU leitet eine Prävalenzrate für die gMG über eine Routinedatenanalyse [3] her. Bei seltenen Erkrankungen ist hierbei fraglich, ob eine alters- und geschlechtsadjustierte Hochrechnung von Daten der Betriebskrankenkassen auf die GKV ausreicht, um eine Repräsentativität für alle GKV-Versicherten zu erreichen. Im Weiteren ist unklar, warum eine Einschränkung auf Patientinnen und Patienten vorgenommen wurde, die mindestens 1 Verschreibung von Acetylcholinesteraseinhibitoren in mindestens 4 unterschiedlichen Quartalen erhalten haben.

Die in der Routinedatenanalyse gewählte Operationalisierung der gMG birgt weitere Unsicherheit dahingehend, insofern dieser ICD Code auch Patientinnen mit alleiniger okulärer Manifestation des Krankheitsbildes erfasst, die ebenfalls von einem Facharzt für Neurologie und Psychiatrie diagnostiziert worden sein mögen.

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

Der pU geht aufgrund der Verbesserung der Therapielandschaft der gMG Patientinnen und Patienten von einem Anstieg der Prävalenz bis zum Jahr 2025 aus. Die Inzidenz wird nach Aussage des pU konstant bleiben.

## **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.

Efgartigimod alfa wird gemäß Fachinformation zusätzlich zur Standardtherapie angewendet. Zu den Kosten der Standardtherapie macht der pU in Modul 3 A keine Angaben.

### **3.2.1 Behandlungsdauer**

Gemäß Fachinformation wird Efgartigimod alfa 1-mal wöchentlich über 4 Wochen (1 Zyklus) verabreicht [2]. Der pU legt 4 Gaben pro Zyklus zugrunde. Dies ist nachvollziehbar.

Weitere Behandlungszyklen sind gemäß Fachinformation der klinischen Beurteilung entsprechend durchzuführen und die Häufigkeit der Behandlungszyklen kann je nach Patientin

bzw. Patient variieren [2]. Zudem ist der Fachinformation zu entnehmen, dass im klinischen Entwicklungsprogramm nachfolgende Behandlungszyklen frühestens 7 Wochen nach der 1. Infusion des vorherigen Zyklus durchgeführt wurden [2].

Der pU gibt an, dass eine konkrete Bestimmung der Anzahl an Behandlungen pro Patientin bzw. Patient pro Jahr nicht möglich sei. Für die Kostenberechnung stützt sich der pU daher auf die klinischen Studien ADAPT [9] und ADAPT+ [10]: Um die Anzahl der Behandlungszyklen pro Jahr zu bestimmen, zieht der pU zunächst die durchschnittliche Zyklusdauer (Zeitraum zwischen dem Beginn eines Zyklus bis zum Beginn des nächsten Zyklus) aus den Studien ADAPT+ mit 8,79 Wochen und ADAPT mit ca. 13 Wochen heran. Anschließend teilt er die Anzahl der Wochen pro Jahr (52 Wochen) durch die durchschnittlich ermittelte Zyklusdauer (8,79 Wochen bzw. 13 Wochen) und berechnet somit eine Anzahl von 4 bis 5,92 Zyklen pro Jahr.

Der Fachinformation ist zu entnehmen, dass es sich bei dem durchschnittlichen Zeitraum der Obergrenze (13 Wochen) ausschließlich um den Zeitraum ab dem 1. Zyklus bis zum Beginn des 2. Zyklus handelt [2]. Die zeitlichen Abstände zwischen den nachfolgenden Zyklen sind dabei nicht berücksichtigt.

Für die Berechnung der Anzahl der Behandlungstage pro Jahr multipliziert der pU die ermittelte Anzahl der Zyklen mit 4 Behandlungstagen pro Zyklus. Er berechnet somit gerundet eine Spanne von 16 bis 24 Behandlungstagen pro Jahr.

Die nachfolgende Bewertung basiert vorbehaltlich auf der vom pU zugrunde gelegten Spanne an Behandlungstagen (16 bis 24 Behandlungstage pro Jahr).

### **3.2.2 Verbrauch**

Die Angaben des pU zum Verbrauch pro Behandlung entsprechen der Fachinformation [2]. Der Verbrauch von Efgartigimod alfa richtet sich nach dem Körpergewicht (10 mg/kg Körpergewicht). Der pU legt für seine Berechnungen das durchschnittliche Körpergewicht Erwachsener (> 18 Jahre) gemäß den Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2017 zugrunde (77 kg) [11].

### **3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels**

Die Angaben des pU zu den Kosten von Efgartigimod alfa geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.10.2022 wieder.

### **3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen**

Der pU veranschlagt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen. Es fallen Kosten im Rahmen der Infusionstherapie an, die der pU nicht veranschlagt.

Dem pU zufolge erfolgt die Herstellung einer parenteralen Efgartigimod alfa-Lösung analog zu der Herstellung einer Lösung mit einem monoklonalen Antikörper. Er veranschlagt daher –

analog zur Herstellung parenteraler Lösungen mit monoklonalen Antikörpern – pro Gabe einen Zuschlag in Höhe von 71 € gemäß Hilfstaxe. Der aktuellen Version zur Anlage 3 zum Vertrag zur Preisbildung für parenterale Ernährung [12] lässt sich kein konkreter Zuschlag für die Zubereitung einer Lösung mit Efgartigimod alfa entnehmen. Das Vorgehen des pU ist jedoch als Annäherung nachvollziehbar.

### **3.2.5 Jahrestherapiekosten**

Der pU ermittelt für Efgartigimod alfa Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 288 499,01 € bis 432 748,52 €. Diese beinhalten Arzneimittelkosten und Kosten für die Herstellung parenteraler Lösungen gemäß Hilfstaxe. Die vom pU angegebenen Arzneimittelkosten sind für die von ihm veranschlagte Zykluszahl plausibel. Patientenindividuell können die Kosten in Abhängigkeit von der durchgeführten Anzahl an Behandlungszyklen auch niedriger oder höher ausfallen. Die Kosten gemäß Hilfstaxe sind als Annäherung nachvollziehbar. Es fallen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt.

Zu der Standardtherapie liefert der pU keine Angaben zu den Jahrestherapiekosten (siehe Abschnitt 3.2).

### **3.2.6 Versorgungsanteile**

Der pU geht aufgrund weiterer zur Behandlung der generalisierten Myasthenia gravis zugelassener Wirkstoffe sowie der Verwendung von nicht zugelassenen Medikamenten davon aus, dass die Anzahl der Patientinnen und Patienten die in der Versorgungsrealität mit Efgartigimod alfa behandelt wird, unter der von ihm geschätzten Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation (14 014 bis 16 816 Patientinnen und Patienten) bleiben wird. Seiner Aussage nach ist eine umfassende quantitative Einschätzung der Entwicklung der Versorgungsanteile für Efgartigimod alfa zu diesem Zeitpunkt nicht möglich.

Dem pU zufolge erfolgt die Behandlung überwiegend ambulant, weshalb die stationäre Behandlung mit Efgartigimod alfa nur eine untergeordnete Rolle spielt.

#### 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

##### 4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Efgartigimod alfa wird zusätzlich zur Standardtherapie zur Behandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit gMG angewendet, die AChR-AK positiv sind.

##### 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
Efgartigimod alfa	erwachsene Patientinnen und Patienten mit gMG die AChR-AK positiv sind, die diesen Wirkstoff zusätzlich zur Standardtherapie erhalten	14 014–16 816	Die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist mit Unsicherheit behaftet.

a. Angabe des pU  
AChR-AK: Anti-Acetylcholinrezeptor-Antikörper; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; gMG: generalisierte Myasthenia gravis; pU: pharmazeutischer Unternehmer

#### 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 € <sup>a</sup>	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € <sup>a</sup>	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfntaxe) in € <sup>a</sup>	Jahres-therapiekosten in € <sup>a</sup>	Kommentar
Efgartigimod alfa	erwachsene Patientinnen und Patienten mit gMG, die AChR-AK positiv sind, zusätzlich zur Standardtherapie	287 363,01– 431 044,52	0	1136,00– 1704,00	288 499,01– 432 748,52	Die angegebenen Arzneimittelkosten sind für die vom pU veranschlagte Zykluszahl plausibel. Patientenindividuell können die Kosten in Abhängigkeit von der durchgeführten Anzahl an Behandlungszyklen auch niedriger oder höher ausfallen. Die vom pU angegebenen Kosten gemäß Hilfntaxe sind als Annäherung nachvollziehbar. Es fallen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt.  Es fallen zusätzlich Kosten für die Standardtherapie an.

a. Angaben des pU

AChR-AK: Anti-Acetylcholinrezeptor-Antikörper; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; gMG: generalisierte Myasthenia gravis; pU: pharmazeutischer Unternehmer



#### **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. Argenx. EPAR-Produktinformation zu Vyvgart (Efgartigimod alfa).
3. SmartStep Data Institute. Incidence, prevalence, and treatment patterns in myasthenia gravis: A German real-world data analysis. 2022.
4. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung. Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand; Jahresdurchschnitt 2020. 2021.
5. Conti-Fine BM, Milani M, Kaminski HJ. Myasthenia gravis: past, present, and future. J Clin Invest 2006; 116(11): 2843-2854. <https://dx.doi.org/10.1172/JCI29894>.
6. Deutsche Gesellschaft für Neurologie. Leitlinie für Diagnostik und Therapie in der Neurologie; Diagnostik und Therapie der Myasthenia gravis und des Lambert-Eaton-Syndroms. 2017.
7. Gilhus NE, Skeie GO, Romi F et al. Myasthenia gravis - autoantibody characteristics and their implications for therapy. Nat Rev Neurol 2016; 12(5): 259-268. <https://dx.doi.org/10.1038/nrneurol.2016.44>.
8. Leite MI, Jacob S, Viegas S et al. IgG1 antibodies to acetylcholine receptors in 'seronegative' myasthenia gravis. Brain 2008; 131(Pt 7): 1940-1952. <https://dx.doi.org/10.1093/brain/awn092>.
9. Argenx. A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Multicenter Phase 3 Trial to Evaluate the Efficacy, Safety and Tolerability of ARGX-113 in Patients With Myasthenia Gravis Having Generalized Muscle Weakness (ADAPT); Clinical Study Report [unveröffentlicht]. 2020.
10. Argenx. ARGX-113-1705; A Long-term, Single-Arm, Open-Label, Multicenter, Phase 3 Follow-on Study of ARGX-113-1704 to Evaluate the Safety and Tolerability of ARGX-113 in Patients With Myasthenia Gravis Having Generalized Muscle Weakness (ADAPT+); Interim Clinical Study Report - Analysis 3 [unveröffentlicht]. 2021.
11. 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).
12. GKV Spitzenverband. Anlage 3 zum Vertrag über die Preisbildung für Stoffe und Zubereitungen aus Stoffen: Preisbildung für parenterale Lösungen (Stand: 01.03.2022).