

# Lonafarnib (HGPS oder PL) –

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



## DOSSIERBEWERTUNG

Auftrag: G22-35

Version: 1.0

Stand: 06.01.2023

IQWiG-Berichte – Nr. 1487

# Impressum

## **Herausgeber**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## **Thema**

Lonafarnib (HGPS oder PL) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

## **Auftraggeber**

Gemeinsamer Bundesausschuss

## **Datum des Auftrags**

12.10.2022

## **Interne Auftragsnummer**

G22-35

## **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**

- Maximilian Kind
- Carolin Weigel
- Judith Kratel
- Anja Schwalm

### **Schlagwörter**

Lonafarnib, Progerie, Laminopathien, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

### **Keywords**

Lonafarnib, Progeria, Laminopathies, Health Care Costs, Epidemiology

# Inhaltsverzeichnis

	Seite
<b>Tabellenverzeichnis .....</b>	<b>iv</b>
<b>Abbildungsverzeichnis .....</b>	<b>v</b>
<b>Abkürzungsverzeichnis.....</b>	<b>vi</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, 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, 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>8</b>
<b>4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete .....</b>	<b>8</b>
<b>4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur         zweckmäßigen Vergleichstherapie.....</b>	<b>8</b>
<b>4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage         kommenden Patientengruppen .....</b>	<b>8</b>
<b>4.4 Kosten der Therapie für die GKV .....</b>	<b>9</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 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	8
Tabelle 2: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr .....	9

## Abbildungsverzeichnis

	<b>Seite</b>
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	4

## Abkürzungsverzeichnis

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
HGPS	Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KOF	Körperoberfläche
LMNA	Lamin A/C
PL	progeroide Laminopathie
PRF	Progeria Research Foundation
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
ZMPSTE24	Zink-Metalloprotease 24

## 1 Hintergrund

Lonafarnib ist ein Arzneimittel zur Behandlung des Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom oder der progeroide Laminopathie. Lonafarnib 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.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V beauftragt, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

- zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) 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.

### 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

---

<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



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, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

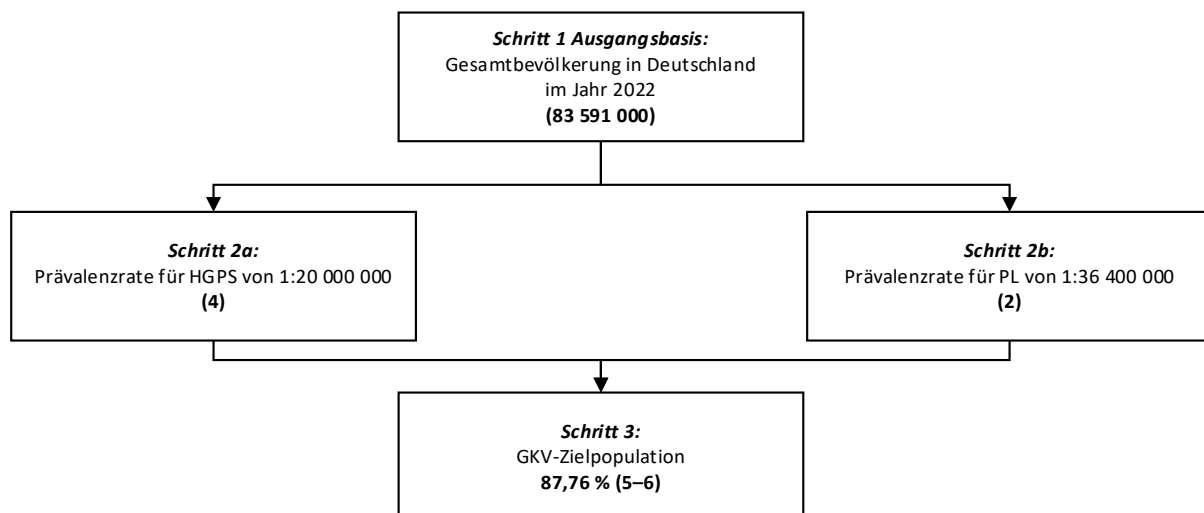
##### 3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Das Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom (HGPS) und die progeroide Laminopathie (PL) stellt der der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß Fachinformation [2]. Demnach wird Lonafarnib zur Behandlung von Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Monaten mit genetisch bestätigter Diagnose von HGPS oder PL mit Verarbeitungsfehler im Zusammenhang mit einer heterozygoten Lamin A/C-Mutation (LMNA) mit Progerie- ähnlicher Proteinakkumulation oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten Zink-Metalloprotease 24-Mutation (ZMPSTE24) angewendet.

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

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) über mehrere Schritte, die in Abbildung 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.



Angaben der absoluten Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Klammern  
HGPS: Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom; PL: progeroide Laminopathie; GKV: gesetzliche Krankenversicherung

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

### **Schritt 1: Ausgangsbasis**

Der pU stützt sich als Ausgangsbasis auf die Angaben der 14. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 31.12.2022 und geht dabei von einer moderaten Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, Lebenserwartung und Wanderung aus (Variante G2-L2-W2). Demnach beträgt die Gesamtbevölkerung in Deutschland rund 83 591 000 Einwohner [3].

### **Schritte 2a und 2b: Prävalenz des HGPS und der PL**

In Schritt 2a bestimmt der pU die Prävalenzrate des HGPS anhand der Ergebnisse seiner Literaturrecherche [4-6]. Aus einer Schätzung der Progeria Research Foundation (PRF) leitet der pU eine Prävalenzrate von 1 zu 20 000 000 Fällen ab [4]. Dem pU zufolge hat die PRF weltweit insgesamt 203 Patientinnen und Patienten (138 mit HGPS und 65 mit PL) identifiziert (Stand: Juli 2022). Davon wurden von der PRF in der US-amerikanischen Bevölkerung 30 Patientinnen und Patienten (18 mit HGPS und 12 mit PL) identifiziert (Stand: Juli 2022). Basierend auf diesem Verhältnis geht der pU davon aus, dass die PL seltener als das HGPS vorkommt. Annehmend auf dieser Erhebung zur US-amerikanischen Bevölkerung berechnet der pU für die PL in Schritt 2b eine Prävalenzrate von 1 zu 36 400 000.

Der pU überträgt die beiden Prävalenzraten zu HGPS und PL auf die 14. koordinierte Bevölkerungsvorausberechnung des Statistischen Bundesamtes [3] (Schritt 1). Demzufolge berechnet er, unter Einbeziehung der Dezimalen der Anzahl an Patientinnen und Patienten in Deutschland, in Summe eine Spanne von 6 bis 7 Patientinnen und Patienten mit HGPS oder PL ab einem Alter von 12 Monaten in Deutschland.

### **Schritt 3: GKV-Zielpopulation**

Der pU setzt einen erwarteten GKV-Anteil unter den Betroffenen von 87,76 % an und verweist dabei auf die Angaben der 14. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 31.12.2021 (moderate Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, Lebenserwartung und Wanderung [Variante G2-L2-W2]) [3] und auf die Angaben zur Gesetzlichen Krankenversicherung (Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand – Jahresdurchschnitt 2021) des Bundesministeriums für Gesundheit [7]. Er ermittelt so eine Anzahl von 5 bis 6 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

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

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch im Wesentlichen nachvollziehbar. Unter der Annahme der vom pU zugrunde gelegten Angaben und Literatur liegt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation weitestgehend in einer plausiblen Größenordnung. Dabei sind jedoch die folgenden Unsicherheitsfaktoren zu beachten:

Der pU berechnet die GKV-Zielpopulation ausschließlich auf Basis von Angaben der PRF, die jedoch lediglich als Vortragsfolien zur Verfügung stehen. Nach Aussage des pU basieren die Angaben u. a. auf einem Register, Studien und medizinischen Datenbanken. Der pU liefert keine näheren Angaben zur epidemiologischen Datenqualität.

Die vom pU herangezogene Prävalenzrate des HGPS und der PL sowie das Verhältnis der Unterformen zueinander basieren auf Angaben zur US-amerikanischen Bevölkerung. Dabei ist unklar, inwieweit die 30 Fälle aus der US-amerikanischen Bevölkerung sowohl vollzählig als auch übertragbar auf die deutsche Bevölkerung sind. Zudem ist die vom pU angegebene Prävalenzrate der PL rechnerisch nicht nachvollziehbar. Anhand des angegebenen Verhältnisses zwischen HGPS und PL sind die Angaben des pU für die GKV-Zielpopulation jedoch weitestgehend replizierbar.

Gemäß Fachinformation [2] sind Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Monaten sowie Patientinnen und Patienten mit PL mit Verarbeitungsfehler im Zusammenhang mit einer heterozygoten LMNA-Mutation mit Progerie- ähnlicher Proteinakkumulation oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten ZMPSTE24-Mutation vom Anwendungsgebiet umfasst. Es ist darauf hinzuweisen, dass eine Eingrenzung auf das Alter der Patientinnen und Patienten in den Herleitungsschritten des pU unberücksichtigt bleibt. Zudem ist unklar, inwieweit eine präzise Eingrenzung der PL mit einer der entsprechenden Mutationen Auswirkung auf die GKV-Zielpopulationen haben kann.

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

Analog zur Berechnung der Prävalenz des HGPS oder der PL ab einem Alter von 12 Monaten gibt der pU auch die Entwicklung der Prävalenz für die kommenden 5 Jahre (2023 bis 2027) an. Ausgehend von einer moderaten Entwicklung der Geburtenhäufigkeit, Lebenserwartung und Wanderung (Variante G2-L2-W2) verändert sich die Prävalenz des HGPS oder der PL laut pU nicht signifikant (im Jahr 2027: 6 bis 7 Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation).

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

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

Der pU liefert Angaben zu Arzneimittelkosten für das 1. Behandlungsjahr (inkl. Anfangsdosis) als auch für die Folgejahre (Erhaltungsdosis). In der vorliegenden Bewertung werden ausschließlich die Kosten im Rahmen der jeweiligen Erhaltungstherapie bewertet, da das HGPS und die PL chronische Erkrankungen mit kontinuierlichem Therapiebedarf darstellen.

### **3.2.1 Behandlungsdauer**

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Lonafarnib entspricht der Fachinformation [2]. Lonafarnib wird 2-mal täglich verabreicht.

### **3.2.2 Verbrauch**

Die Angabe des pU zum Verbrauch entspricht der Fachinformation [2]. Der Verbrauch von Lonafarnib richtet sich nach der Körperoberfläche (KOF). Der pU verwendet für seine Berechnung die untere und obere Grenze der KOF gemäß Fachinformation [2] und bildet hieraus eine Spanne. Unter Berücksichtigung der DuBois-Formel und der durchschnittlichen Körpermaße für 1 bis unter 2-jährige bzw. 18 bis unter 20-jährige gemäß den Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2017 [8], ist die vom pU gewählte Spanne nachvollziehbar – insbesondere vor dem Hintergrund, dass in der Literatur eine durchschnittliche Lebenserwartung von 14,5 Jahren mit einer Spanne von 6 bis 20 Jahren beschrieben ist [9].

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

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

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

Der pU gibt korrekt an, dass der Fachinformation [2] keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen zu entnehmen sind.

### **3.2.5 Jahrestherapiekosten**

Der pU ermittelt für Lonafarnib Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 655 617,97 € bis 1 965 495,05 € (für die Erhaltungstherapie ab dem 2. Behandlungsjahr). Die Jahrestherapiekosten beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten, da keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen anfallen. Die Angaben des pU sind in der Größenordnung plausibel.

### **3.2.6 Versorgungsanteile**

Der pU macht keine quantitativen Angaben zu den zu erwartenden Versorgungsanteilen von Lonafarnib. Er liefert Angaben zu Kontraindikationen gemäß Fachinformation [2]. Zu Therapieabbrüchen sowie Patientenpräferenzen liegen dem pU keine Informationen vor. Er gibt an, dass Lonafarnib grundsätzlich im ambulanten Bereich verschrieben wird.

## 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

### 4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Lonafarnib wird für die Behandlung von Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Monaten mit genetisch bestätigter Diagnose von Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom oder progeroider Laminopathie mit Verarbeitungsfehler im Zusammenhang mit einer heterozygoten LMNA-Mutation mit Progerie- ähnlicher Proteinakkumulation oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten ZMPSTE24-Mutation angewendet.

### 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 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten <sup>a</sup>	Kommentar
Lonafarnib	Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Monaten mit genetisch bestätigter Diagnose von HGPS oder PL mit Verarbeitungsfehler im Zusammenhang mit einer heterozygoten LMNA-Mutation mit Progerie ähnlicher Proteinakkumulation oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten ZMPSTE24-Mutation.	5–6	Unter der Annahme der vom pU zugrunde gelegten Angaben und Literatur liegt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation in einer weitestgehend plausiblen Größenordnung.

a. Angabe des pU  
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; HGPS: Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom; LMNA: Lamin A/C; PL: progeroide Laminopathie; pU: pharmazeutischer Unternehmer; ZMPSTE24: Zink-Metalloprotease 24

#### 4.4 Kosten der Therapie für die GKV

Tabelle 2: 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 Hilfstaxe) in € <sup>a</sup>	Jahrestherapiekosten in € <sup>a</sup>	Kommentar
Lonafarnib	Patientinnen und Patienten ab einem Alter von 12 Monaten mit genetisch bestätigter Diagnose von HGPS oder PL mit Verarbeitungsfehler im Zusammenhang mit einer heterozygoten LMNA-Mutation mit Progerie ähnlicher Proteinakkumulation oder einer homozygoten oder zusammengesetzten heterozygoten ZMPSTE24-Mutation.	655 617,97– 1 965 495,05	0	k. A.	655 617,97– 1 965 495,05	Die angegebenen Jahrestherapiekosten sind in der Größenordnung plausibel. Die Jahrestherapiekosten beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten.
<p>a. Angabe des pU für die Erhaltungstherapie ab dem 2. Behandlungsjahr</p> <p>GKV: gesetzliche Krankenversicherung; HGPS: Hutchinson-Gilford-Progerie-Syndrom; LMNA: Lamin A/C; PL: progeroide Laminopathie; pU: pharmazeutischer Unternehmer; ZMPSTE24: Zink-Metalloprotease 24</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]. 2022 [Zugriff: 19.12.2022]. URL: <https://www.g-ba.de/richtlinien/42/>.
2. EigerBio Europe. Zokinvy 50 mg Hartkapseln; /Zokinvy 75 mg Hartkapseln (Lonafarnib) [online]. 2022 [Zugriff: 19.10.2022]. URL: <https://www.fachinfo.de/>.
3. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung Deutschlands bis 2060; Ergebnisse der 14. koordinierten Bevölkerungsvorausberechnung; Hauptvarianten 1 bis 9 [online]. 2019 [Zugriff: 19.12.2022]. URL: [https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsvorausberechnung/Publikationen/Downloads-Vorausberechnung/bevoelkerung-deutschland-2060-5124202199014.pdf?\\_\\_blob=publicationFile](https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsvorausberechnung/Publikationen/Downloads-Vorausberechnung/bevoelkerung-deutschland-2060-5124202199014.pdf?__blob=publicationFile).
4. The Progeria Research Foundation. PRF by the Numbers [online]. 2022 [Zugriff: 19.12.2022]. URL: <https://www.progeriaresearch.org/prf-by-the-numbers>.
5. Gordon LB, Shappell H, Massaro J et al. Association of Lonafarnib Treatment vs No Treatment With Mortality Rate in Patients With Hutchinson-Gilford Progeria Syndrome. JAMA 2018; 319(16): 1687-1695. <https://dx.doi.org/10.1001/jama.2018.3264>.
6. Ullrich NJ, Gordon LB. Hutchinson-Gilford progeria syndrome. Handb Clin Neurol 2015; 132: 249-264. <https://dx.doi.org/10.1016/B978-0-444-62702-5.00018-4>.
7. Gesetzliche Krankenversicherung. Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand; Jahresdurchschnitt 2021 [online]. 2022 [Zugriff: 19.12.2022]. URL: [https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3\\_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder\\_Versicherte/jahresdurchschnitt\\_2021\\_bf.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/jahresdurchschnitt_2021_bf.pdf).
8. 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).
9. Gordon LB, Brown WT, Collins FS. Hutchinson-Gilford progeria syndrome. In: GeneReviews. University of Washington, Seattle; 2019.