

# Sutimlimab (hämolytische Anämie mit Kälteagglutinin- Krankheit)

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

A horizontal bar composed of 18 rectangular segments of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue segment that spans across the middle of the bar.

**DOSSIERBEWERTUNG**

Projekt: G23-01

Version: 1.0

Stand: 17.03.2023

IQWiG-Berichte – Nr. 1526

# Impressum

## Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## Thema

Sutimlimab (hämolytische Anämie mit Kälteagglutinin-Krankheit) – Bewertung gemäß § 35a  
Abs. 1 Satz 11 SGB V

## Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

## Datum des Auftrags

02.01.2023

## Interne Projektnummer

G23-01

## 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**

- Helmut Ostermann, LMU Klinikum, München

Das IQWiG dankt dem medizinisch-fachlichen Berater für seinen Beitrag zur Dossierbewertung. Der Berater war jedoch nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

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

- Kathrin Wohlföhner
- Nadia Abu Rajab
- Sarah Mostardt
- Corinna ten Thoren

### **Schlagwörter**

Sutimlimab, Anämie – Autoimmunhämolytische, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

### **Keywords**

Sutimlimab, Anemia – Hemolytic – Autoimmune, 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 Anwendungsgebiet.....</b>	<b>1</b>
<b>1.2 Verlauf des Projekts.....</b>	<b>1</b>
<b>1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs .....</b>	<b>2</b>
<b>2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....</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 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	4
3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU .....	4
3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	5
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten .....	5
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung .....	6
<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 .....	6
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 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	8
3.2.7 Versorgungsanteile.....	9
<b>4 Literatur .....</b>	<b>10</b>
<b>Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen .....</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 .....	6
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr .....	8

### Abkürzungsverzeichnis

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
CAD	cold agglutinin disease (Kälteagglutinin-Krankheit)
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

## 1 Hintergrund

### 1.1 Anwendungsgebiet

Sutimlimab ist indiziert zur Behandlung der hämolytischen Anämie bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit Kälteagglutinin-Krankheit (CAD).

### 1.2 Verlauf des Projekts

Sutimlimab 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. Das Dossier wurde dem IQWiG am 02.01.2022 übermittelt.

Die vorliegende Bewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung beinhaltete die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patientinnen und Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis. Darüber hinaus konnte eine Einbindung im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen erfolgen. Alle Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pU.

Bei der Dossierbewertung werden die Anforderungen berücksichtigt, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossiervorlagen 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

### **1.3 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 und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung**

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. Ggf. werden vom G-BA außerdem Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung adressiert. Aus diesen Gründen sind die Bewertung des Zusatznutzens und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung 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 hämolytische Anämie mit CAD stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß Fachinformation [2]. Demnach wird Sutimlimab zur Behandlung der hämolytischen Anämie bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit CAD angewendet [2].

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

###### 3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der GKV 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 (Patientenzahl)
1	Gesamtbevölkerung in Deutschland im Jahr 2022	–	84 079 811
2	Patientinnen und Patienten mit CAD in Deutschland (5 bis 20,5 Fälle pro 1 000 000 Einwohner)	–	420–1724
3	Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	87,57	368–1509

CAD: Kälteagglutinin-Krankheit; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer

###### Schritt 1: Gesamtbevölkerung in Deutschland im Jahr 2022

Der pU stützt sich als Ausgangsbasis auf die Angaben zum Bevölkerungsstand des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 30.06.2022. Demnach beträgt die Gesamtbevölkerung in Deutschland 84 079 811 Einwohner [3].

###### Schritt 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten mit CAD in Deutschland

Da laut pU keine epidemiologischen Daten zur CAD in Deutschland vorliegen, zieht er zur Abschätzung der Prävalenz der CAD in Deutschland eine retrospektive Beobachtungsstudie von Berentsen et al. (2020) [4] heran. Darin wurden im Zeitraum der Jahre Juni 2017 bis Januar 2019 Daten von insgesamt 232 Patientinnen und Patienten mit CAD aus Norwegen, Italien

(Lombardei), dem Vereinigten Königreich, Finnland und Dänemark untersucht. Als Untergrenze der Prävalenz der CAD entnimmt der pU die Prävalenzrate aus Italien von 5 Fällen pro 1 000 000 Einwohner. Für die Obergrenze legt er die Prävalenzrate aus Norwegen von 20,5 Fällen pro 1 000 000 Einwohner zugrunde.

Der pU überträgt die beiden Prävalenzraten zur CAD auf die Angaben zum Bevölkerungsstand des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 30.06.2022 [3] (Schritt 1). Demzufolge berechnet er eine Spanne von 420 bis 1724 Patientinnen und Patienten mit CAD in Deutschland.

### **Schritt 3: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation**

Der pU setzt einen erwarteten GKV-Anteil unter den Betroffenen von 87,57 % an und verweist dabei auf die Angaben des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 30.06.2022 [3] und auf die Angaben zur GKV (Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand – Jahresdurchschnitt 2021) des Bundesministeriums für Gesundheit [5]. Übertragen auf die Spanne aus Schritt 2 ermittelt er so eine Anzahl von 368 bis 1509 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

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

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch nachvollziehbar. Die Angabe des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation liegt in einer weitgehend plausiblen Größenordnung.

Ein Abgleich mit dem Orphanet [6] liefert zwar eine Prävalenz der CAD von 1 bis 9 pro 1 000 000 Einwohner aller Altersgruppen. Es ist aber generell darauf hinzuweisen, dass die Angaben des Orphanet zwar auf systematischen Literaturrecherchen zur Abschätzung der Prävalenzraten seltener Krankheiten in Europa basieren, jedoch keine Angaben über den Veröffentlichungszeitraum der eingeschlossenen Studien enthalten. Die Autorinnen und Autoren von Orphanet weisen zudem insbesondere darauf hin, dass eine Bewertung der Validität der publizierten Studien nicht erfolgt [7]. Darüber hinaus ist unklar, in welchen Ländern die Prävalenzangaben gewonnen wurden. Dies ist relevant, da in Berentsen et al. (2020) [4] höhere Prävalenzraten einer CAD mit einer niedrigeren Außentemperatur in Zusammenhang gebracht wurden.

Im Vergleich zur Prävalenzangabe aus dem Orphanet [6] stellt die aktuelle retrospektive Beobachtungsstudie von Berentsen et al. (2020) [4] eine transparente Datengrundlage dar.

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

Der pU schreibt die Prävalenzraten von 5 Fällen pro 1 000 000 Einwohner sowie 20,5 Fällen pro 1 000 000 Einwohner (siehe Schritt 2) mit CAD für die Jahre 2022 bis 2027 fort. Ausgehend von der ersten mittelfristigen Bevölkerungsvorberechnung des Statistischen Bundesamt

der Jahre 2021 bis 2035 und einem moderaten Wanderungssaldo [8] berechnet der pU ohne Berücksichtigung eines GKV-Anteils für das Jahr 2027 eine Anzahl von 414 bis 1696 Patientinnen und Patienten mit CAD in Deutschland.

### 3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

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
Sutimlimab	erwachsene Patientinnen und Patienten mit hämolytischer Anämie mit CAD	368–1509	Die Angabe des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation liegt in einer weitgehend plausiblen Größenordnung.
a. Angabe des pU CAD: Kälteagglutinin-Krankheit; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

## 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.

Der pU liefert Angaben zu Arzneimittelkosten für das 1. Behandlungsjahr als auch für die Folgejahre (Erhaltungsdosis). In der vorliegenden Bewertung werden ausschließlich die Kosten im Rahmen der jeweiligen Erhaltungstherapie bewertet, da die hämolytische Anämie bei CAD eine chronische Erkrankung mit kontinuierlichem Therapiebedarf darstellt.

### 3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Sutimlimab entsprechen der Fachinformation [2]. Sutimlimab wird alle 2 Wochen verabreicht.

Der pU rundet die Anzahl der Behandlungen pro Jahr auf ganze Zahlen ab und veranschlagt somit 26 Behandlungen pro Patientin bzw. Patient pro Jahr. Bei Berechnung der Anzahl der Behandlungen auf 1 Nachkommastelle gerundet und auf Grundlage von 365 Tagen pro Jahr ergeben sich eine Anzahl von 26,1 Behandlungen pro Patientin bzw. Patient pro Jahr.

### 3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation [2]. Der Verbrauch von Sutimlimab richtet sich nach dem Körpergewicht. Die Fachinformation beinhaltet eine Tabelle mit verschiedenen Dosierstärken in Abhängigkeit vom Körpergewicht. Dieser zufolge liegt die tägliche Einzeldosis von Sutimlimab zwischen 6500 mg (bei einem Körpergewicht von 39 kg bis < 75 kg) und 7500 mg (bei einem Körpergewicht von  $\geq$  75 kg). Der pU setzt für den

Verbrauch eine Spanne bestehend aus der in der Fachinformation genannten minimalen und maximalen Dosierung an. Unter Zugrundelegung eines durchschnittlichen Körpergewichts eines Erwachsenen von 77 kg gemäß den aktuellen Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2017 [9] liegt der Verbrauch eher im Bereich der vom pU angegebenen oberen Grenze.

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

Der pU gibt das Datum der Abfrage in der Lauer-Taxe nicht an. Die Angaben des pU entsprechen dem Stand der Lauer-Taxe vom 01.02.2023.

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

Der pU veranschlagt keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen. Damit bleiben zusätzlich notwendige GKV-Leistungen unberücksichtigt, wie z. B. Kosten für die Verabreichung der Infusionstherapie [2]. Gemäß der Fachinformation [2] wird Sutimlimab als Lösung in einer Einzeldosis-Durchstechflasche bereitgestellt und ist von medizinischem Fachpersonal aseptisch zuzubereiten. Daher können Kosten für die Herstellung einer parenteralen Lösung mit monoklonalen Antikörpern gemäß Hilfstaxe angesetzt werden, die der pU nicht veranschlagt.

### **3.2.5 Jahrestherapiekosten**

Der pU ermittelt für Sutimlimab Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 200 306,60 € (bei einem Körpergewicht von 39 kg bis < 75 kg) bis 233 873,64 € (bei einem Körpergewicht von  $\geq$  75 kg). Die Jahrestherapiekosten beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten. Wird die Anzahl der Behandlungen pro Jahr auf 1 Nachkommastelle gerundet, so ergeben sich, basierend auf 26,1 Behandlungen pro Patientin bzw. Patient pro Jahr, höhere Arzneimittelkosten als vom pU angegeben. Es fallen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt. Zudem können Kosten für die Herstellung einer parenteralen Lösung mit monoklonalen Antikörpern gemäß Hilfstaxe angesetzt werden.

### 3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie 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
Sutimlimab	erwachsene Patientinnen und Patienten mit hämolytischer Anämie mit CAD	200 306,60 <sup>b</sup> – 233 873,64 <sup>c</sup>	0	0	200 306,60 <sup>b</sup> – 233 873,64 <sup>c</sup>	Bei Rundung der Anzahl der Behandlungszyklen pro Jahr auf 1 Nachkommastelle ergeben sich höhere Arzneimittelkosten als vom pU angegeben. Es fallen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt. Zudem können Kosten für die Herstellung einer parenteralen Lösung mit monoklonalen Antikörpern gemäß Hilfstaxe angesetzt werden.
<p>a. Angabe des pU für die Erhaltungstherapie  b. Angabe des pU für ein Körpergewicht von 39 kg bis &lt; 75 kg  c. Angabe des pU für ein Körpergewicht ≥ 75 kg  CAD: Kälteagglutinin-Krankheit; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>						

### **3.2.7 Versorgungsanteile**

Der pU macht keine quantitativen Angaben zu den zu erwartenden Versorgungsanteilen von Sutimlimab. Er geht insgesamt jedoch von einer Überschätzung der Zielpopulation aus, da laut ihm nicht alle Patientinnen und Patienten der GKV-Zielpopulation mit Sutimlimab behandelt werden, sondern z. B. bei mildereren Krankheitsverläufen beobachtendes Abwarten gewählt wird. Der pU liefert Angaben zu Kontraindikationen gemäß Fachinformation [2], die seiner Ansicht nach nicht mit einer Einschränkung der Zielpopulation einhergehen. Er gibt an, dass eine Therapie mit Sutimlimab überwiegend im ambulanten Bereich erfolgen wird.

#### 4 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. Sanofi-Aventis Deutschland. Fachinformation Enjaymo. 2022. URL: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/enjaymo-epar-product-information\\_de.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/enjaymo-epar-product-information_de.pdf).
3. Statistisches Bundesamt. Bevölkerungsstand; Bevölkerung nach Nationalität und Geschlecht (Quartalszahlen) [online]. 2022. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/Tabellen/liste-zensus-geschlecht-staatsangehoerigkeit.html>.
4. Berentsen S, Barcellini W, D'Sa S et al. Cold agglutinin disease revisited: a multinational, observational study of 232 patients. Blood 2020; 136(4): 480-488. <https://dx.doi.org/10.1182/blood.2020005674>.
5. Bundesgesundheitsministerium. Gesetzliche Krankenversicherung - Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand - Jahresdurchschnitt 2021; Ergebnisse der GKV-Statistik KM1/13 - Stand: 31. März 2022 [online]. 2022. URL: [https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3\\_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder\\_Versicherte/KM1\\_JD\\_2021\\_K\\_bf.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_JD_2021_K_bf.pdf).
6. Michel M. Kälteagglutinin-Krankheit [online]. 2010 [Zugriff: 01.02.2023]. URL: [https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/OC\\_Exp.php?lng=DE&Expert=56425](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/OC_Exp.php?lng=DE&Expert=56425).
7. Orphanet. Prävalenzen und Inzidenzen seltener Krankheiten : Bibliographische Angaben; Prävalenzen, Inzidenzen oder Anzahl publizierter Fälle sortiert nach Krankheiten (alphabetische Liste) [online]. 2022 [Zugriff: 01.02.2023]. URL: [http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/DE/Pravalenzen\\_seltener\\_Krankheiten\\_Alphabetische\\_Liste.pdf](http://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/DE/Pravalenzen_seltener_Krankheiten_Alphabetische_Liste.pdf).
8. Statistisches Bundesamt. Ausblick auf die Bevölkerungsentwicklung in Deutschland und den Bundesländern nach dem Corona-Jahr 2020; Erste mittelfristige Bevölkerungsvorausberechnung 2021 bis 2035 [online]. 2021. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsvorausberechnung/Publikationen/Downloads-Vorausberechnung/bevoelkerung-deutschland-2035-5124202219004.pdf>.



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).

## Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen

### Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Beraterinnen oder Berater, die wissenschaftliche Forschungsaufträge für das Institut bearbeiten, haben gemäß § 139b Abs. 3 Satz 2 SGB V „alle Beziehungen zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, insbesondere der pharmazeutischen Industrie und der Medizinprodukteindustrie, einschließlich Art und Höhe von Zuwendungen“ offenzulegen. Das Institut hat von dem Berater ein ausgefülltes Formular „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ erhalten. Die Angaben wurden durch das speziell für die Beurteilung der Interessenkonflikte eingerichtete Gremium des Instituts bewertet. Es wurden keine Interessenkonflikte festgestellt, die die fachliche Unabhängigkeit im Hinblick auf eine Bearbeitung des vorliegenden Auftrags gefährden. Im Folgenden sind die Angaben zu Beziehungen zusammengefasst. Alle Informationen beruhen auf Selbstangaben der Person anhand des „Formblatts zur Offenlegung von Beziehungen“. Das Formblatt ist unter [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) abrufbar. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6	Frage 7
Ostermann, Helmut	ja	ja	ja	nein	nein	nein	nein

Im „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ (Version 03/2020) wurden folgende 7 Fragen gestellt:

*Frage 1:* Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor bei einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband angestellt oder für diese / dieses / diesen selbstständig oder ehrenamtlich tätig bzw. sind oder waren Sie freiberuflich in eigener Praxis tätig?

*Frage 2:* Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor eine Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. eine Klinik, eine Einrichtung der Selbstverwaltung, eine Fachgesellschaft, ein Auftragsforschungsinstitut), ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Medizinproduktehersteller oder einen industriellen Interessenverband beraten (z. B. als Gutachter/-in, Sachverständige/r, in Zusammenhang mit klinischen Studien als Mitglied eines sogenannten Advisory Boards / eines Data Safety Monitoring Boards [DSMB] oder Steering Committees)?

*Frage 3:* Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband Honorare erhalten (z. B. für Vorträge, Schulungstätigkeiten, Stellungnahmen oder Artikel)?

*Frage 4:* Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband sogenannte Drittmittel erhalten (d. h. finanzielle Unterstützung z. B. für Forschungsaktivitäten, die Durchführung klinischer Studien, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen)? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

*Frage 5:* Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen, z. B. Ausrüstung, Personal, Unterstützung bei der Ausrichtung einer Veranstaltung, Übernahme von Reisekosten oder Teilnahmegebühren für Fortbildungen / Kongresse erhalten von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft,

einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

*Frage 6:* Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einem Auftragsforschungsinstitut), eines pharmazeutischen Unternehmens, eines Medizinprodukteherstellers oder eines industriellen Interessenverbands? Besitzen Sie Anteile eines sogenannten Branchenfonds, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Medizinproduktehersteller ausgerichtet ist? Besitzen Sie Patente für ein pharmazeutisches Erzeugnis, ein Medizinprodukt, eine medizinische Methode oder Gebrauchsmuster für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt?

*Frage 7:* Sind oder waren Sie jemals an der Erstellung einer medizinischen Leitlinie oder klinischen Studie beteiligt, die eine mit diesem Projekt vergleichbare Thematik behandelt/e? Gibt es sonstige Umstände, die aus Sicht von unvoreingenommenen Betrachtenden als Interessenkonflikt bewertet werden können, z. B. Aktivitäten in gesundheitsbezogenen Interessengruppierungen bzw. Selbsthilfegruppen, politische, akademische, wissenschaftliche oder persönliche Interessen?