

Somapacitan (hormonelle Wachstumsstörung, ≥ 3 bis < 18 Jahre)

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 12th, 13th, and 14th segments from the left.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G23-29

Version: 1.0

Stand: 25.01.2024

IQWiG-Berichte – Nr. 1704

DOI: 10.60584/G23-29

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Somapacitan (hormonelle Wachstumsstörung, ≥ 3 bis < 18 Jahre) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

30.10.2023

Interne Projektnummer

G23-29

DOI-URL

<https://dx.doi.org/10.60584/G23-29>

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

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Somapacitan (hormonelle Wachstumsstörung, ≥ 3 bis < 18 Jahre); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2024 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://dx.doi.org/10.60584/G23-29>.

Schlagwörter

Somapacitan, Wachstumsstörungen, Kind – Vorschul-, Kind, Adolescent, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Somapacitan, Growth Disorders, Child – Preschool, Child, Adolescent, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Wolfgang Rascher, Kinder- und Jugendklinik, Erlangen

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

- Felix Schwarz
- Katharina Frangen
- Anja Schwalm
- Corinna ten Thoren

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abbildungsverzeichnis	vi
Abkürzungsverzeichnis.....	vii
1 Hintergrund.....	1
1.1 Anwendungsgebiet.....	1
1.2 Verlauf des Projekts.....	1
1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	3
3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	4
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.....	7
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten.....	8
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	9
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	9
3.2.1 Behandlungsdauer.....	9
3.2.2 Verbrauch	9
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	10
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	10
3.2.5 Jahrestherapiekosten	10
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	11
3.2.7 Versorgungsanteile.....	12
4 Literatur	13
Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen	14

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	9
Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	11

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	5

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
ATC	Anatomisch-Therapeutisch-Chemisches Klassifikationssystem
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GHD	Growth Hormone Deficiency (Wachstumshormonmangel)
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD-10	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10 (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision)
InGef	Institut für angewandte Gesundheitsforschung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
M2Q	mindestens 2 Quartale
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Somapacitan ist für mehrere Anwendungsgebiete zugelassen. Die vorliegende Bewertung bezieht sich ausschließlich auf folgendes Anwendungsgebiet:

Somapacitan wird zur Substitution des endogenen Wachstumshormons bei Kindern ab 3 Jahren und Jugendlichen mit Wachstumsstörung aufgrund eines Wachstumshormonmangels (GHD) angewendet.

1.2 Verlauf des Projekts

Somapacitan ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist.

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 30.10.2023 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 Dossievorlagen beschrieben sind (siehe Verfahrensordnung des G-BA [1]).

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

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.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Die Beschlussfassung erfolgt durch den G-BA im Anschluss an das Stellungnahmeverfahren.

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).

2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

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

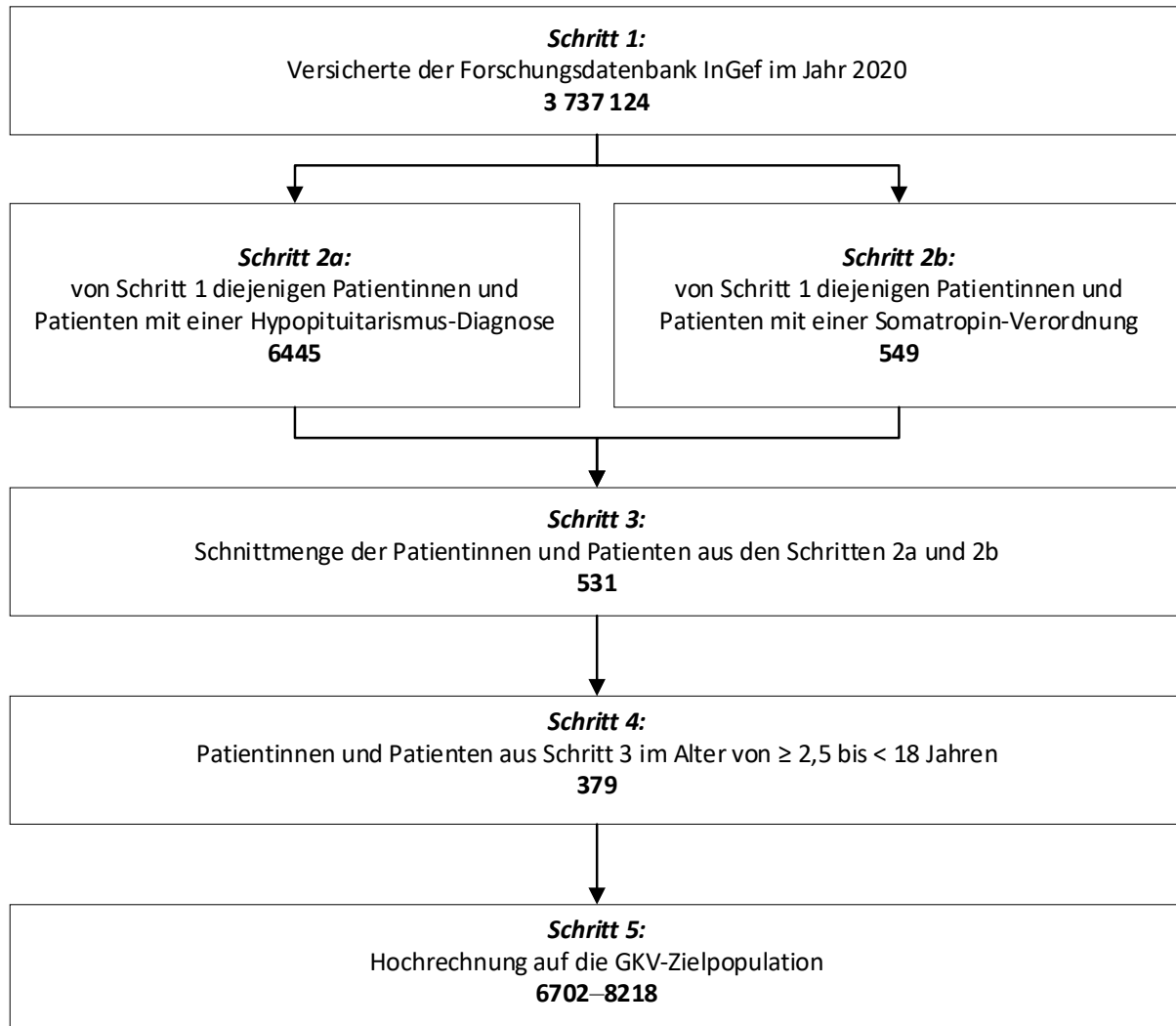
Den Wachstumshormonmangel (GHD) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation im vorliegenden Anwendungsgebiet charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation [2]. Demnach wird Somapacitan zur Substitution des endogenen Wachstumshormons bei Kindern ab 3 Jahren und Jugendlichen mit Wachstumsstörung aufgrund eines Wachstumshormonmangels angewendet.

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 GKV-Zielpopulation in mehreren Schritten, die in Abbildung 1 zusammenfassend dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.



GKV: gesetzliche Krankenversicherung; InGef: Institut für angewandte Gesundheitsforschung

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

Schritt 1: Versicherte der Forschungsdatenbank InGef im Jahr 2020

Die Datengrundlage für die Ermittlung der GKV-Zielpopulation bildet eine Analyse von GKV-Abrechnungsdaten aus dem Jahr 2022, basierend auf der Forschungsdatenbank des Instituts für angewandte Gesundheitsforschung Berlin (InGef) [3]. Die Forschungsdatenbank setzt sich laut pU aus longitudinalen Abrechnungsdaten von ca. 60 gesetzlichen Krankenkassen und ca. 8 Millionen gesetzlich Versicherten zusammen. Herangezogen wurde eine nach Angaben des pU bezüglich Alter und Geschlecht für die deutsche Gesamtbevölkerung repräsentative Stichprobe von 3 737 124 Versicherten für das Jahr 2020. Berücksichtigt wurden Versicherte, die zwischen dem 01.01.2018 und dem 31.12.2020 kontinuierlich beobachtbar waren (einschließlich Versicherter, die im Jahr 2020 verstorben sind, aber ohne diejenigen, die in den Jahren 2018 bis 2019 verstorben sind).

Schritt 2a: von Schritt 1 diejenigen Patientinnen und Patienten mit einer Hypopituitarismus-Diagnose

Im nächsten Schritt wurden aus der Stichprobe alle Versicherten identifiziert, die eine gesicherte Diagnose für Hypopituitarismus aufwiesen. Diese erfasst der pU zunächst über das Vorliegen der folgenden Diagnosecodes gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision (ICD-10):

- E23.0 Hypopituitarismus
- E23.3 Hypothalamische Dysfunktion, anderenorts nicht klassifiziert
- E23.6 Sonstige Störungen der Hypophyse
- E23.7 Störung der Hypophyse, nicht näher bezeichnet
- E89.3 Hypopituitarismus nach medizinischen Maßnahmen

Hypopituitarismus galt dabei als sicher diagnostiziert, wenn innerhalb des Zeitraums vom 01.01.2018 bis 31.12.2020 mindestens 1 der beiden folgenden Kriterien erfüllt war:

- mindestens 1 stationäre Haupt- oder Nebendiagnose
- mindestens 2 gesicherte ambulante Diagnosen in mindestens 2 Quartalen (M2Q) innerhalb eines Zeitraums von maximal 4 aufeinanderfolgenden Quartalen

Für diesen Schritt gibt der pU eine Anzahl von 6445 Versicherten an [3].

Schritt 2b: von Schritt 1 diejenigen Patientinnen und Patienten mit einer Somatotropin-Verordnung

Im nächsten Schritt wurde analysiert, wie viele der Versicherten aus Schritt 1 im Jahr 2020 mindestens 1 Wachstumshormon-Therapie erhalten hatten. Diese wurden über den Anatomisch-Therapeutisch-Chemischen(ATC)-Code² des Wirkstoffs Somatotropin (ATC-Code: H01AC01) identifiziert.

Für das Jahr 2020 ermittelt der pU 549 Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 Somatotropin-Verordnung [3].

Schritt 3: Schnittmenge der Patientinnen und Patienten aus den Schritten 2a und 2b

Patientinnen und Patienten, für die einer der ICD-10-Codes (Schritt 2a) im Beobachtungszeitraum dokumentiert war, mussten zusätzlich mindestens 1 Somatotropin-

² Die Erstellung der Dossierbewertung erfolgte unter Verwendung der Datenträger der amtlichen Fassung der ATC-Klassifikation mit definierten Tagesdosen des BfArM. Als Datengrundlage diente die Version des Jahres 2020.

Verordnung im Jahr 2020 (Schritt 2b) aufweisen, um für diesen Schritt berücksichtigt zu werden.

Der pU gibt eine Anzahl von 531 Versicherten als Schnittmenge dieser Kriterien für diesen Schritt an [3].

Schritt 4: Diejenigen Patientinnen und Patienten aus Schritt 3 im Alter von $\geq 2,5$ bis < 18 Jahren

Laut pU ergibt sich durch eine Stratifizierung nach Alter in der Kassendatenanalyse zum 31.12.2020 eine Anzahl von 384 Patientinnen und Patienten im Alter von < 18 Jahren. Die Zielpopulation gemäß Anwendungsgebiet [2] umfasst Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 3 bis < 18 Jahren. Der Routinedatenanalyse sind jedoch lediglich Angaben zur Alterskohorte von $\geq 2,5$ bis < 18 Jahren zu entnehmen.

In dieser Altersspanne ($\geq 2,5$ bis < 18 Jahre) befinden sich laut pU 379 Versicherte.

Schritt 5: Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Für die Bestimmung der GKV-Zielpopulation rechnet der pU die Anzahl der Patientinnen und Patienten aus Schritt 4 auf die Anzahl der GKV-Versicherten hoch. Als Ergebnis gibt der pU hochgerechnet auf die Gesamtzahl der GKV-Versicherten ($N = 73\,274\,131$) – mit Verweis auf eine Quelle des Bundesgesundheitsministeriums [4] – als 95 %-Konfidenzintervall (Clopper-Pearson-Intervall) eine Anzahl von 6702 bis 8218 Patientinnen und Patienten für die GKV-Zielpopulation an.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch nachvollziehbar. Die vom pU angegebene Spanne ist mit Unsicherheit behaftet. Die maßgeblichen Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden dargestellt.

Zu den Schritten 2a und 2b: Patientinnen und Patienten mit Hypopituitarismus-Diagnose und / oder Somatotropin-Verschreibung

Die Identifizierung der zugrunde liegenden Erkrankung GHD mittels der Routinedatenanalyse ist mit Unsicherheit behaftet, da unklar ist, ob eine sichere Identifikation von Patientinnen und Patienten mit GHD anhand von ICD-10-Codes möglich ist. Da es keinen spezifischen ICD-10-Code für GHD gibt, zieht der pU stattdessen verschiedene ICD-10-Codes für Hypopituitarismus heran, da diese Codes gemäß seiner Aussage im Zusammenhang mit GHD stehen. Hierbei ist jedoch fraglich, ob die vom pU berücksichtigten ICD-10-Codes Patientinnen und Patienten mit GHD hinreichend spezifisch und umfassend aufgreifen. Dies wird auch durch den pU selbst adressiert.

Zu Schritt 4: Patientinnen und Patienten aus Schritt 3 im Alter von $\geq 2,5$ bis < 18 Jahren

Der pU schließt für die Ermittlung der Zielpopulation jene Patientinnen und Patienten aus Schritt 3 ein, die sich im Alter zwischen $\geq 2,5$ bis < 18 Jahren befinden und berücksichtigt somit eine größere Altersspanne, als dem Anwendungsgebiet (Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 3 bis < 18 Jahren [2]) zu entnehmen ist. Dies führt tendenziell zu einer Überschätzung in diesem Schritt, was der pU auch selbst adressiert. Die Daten der stratifizierten Kohorten nach Alter legen jedoch nahe, dass es sich hierbei um sehr wenige Patientinnen und Patienten handelt.

Einordnung der Patientenzahlen in bisherige Verfahren

In 2 vorangegangenen Verfahren zu ähnlichen Anwendungsgebieten aus den Jahren 2022 (Somatrogen) [5,6] und 2023 (Lonapegsomatropin) [7,8] wurde die Anzahl der Kinder und Jugendlichen in der GKV mit 5711 bis 6546 (bei Somatrogen) beziehungsweise mit 5198 bis 5958 (bei Lonapegsomatropin) angegeben. Die vorliegende Herleitung der GKV-Zielpopulationen unterscheidet sich gegenüber den 2 vorangegangenen Verfahren, deren Herleitungsansätze auf ähnlichen Schritten basierten, insbesondere durch einen anderen Datensatz sowie eine abweichende methodische Vorgehensweise. So wurden im aktuellen Verfahren zusätzlich zu Somatropin-Verordnungen auch ICD-10-Codes berücksichtigt, während in den Vorgängerverfahren neben Verordnungsdaten zudem Werte aus der Literatur zur Bestimmung des GHD-Anteils herangezogen wurden. Die im aktuellen Verfahren ermittelte GKV-Zielpopulation von 6702 bis 8218 Patientinnen und Patienten liegt höher als in den Vorgängerverfahren, ist aber aufgrund des gewählten methodischen Ansatzes (Kombination aus ICD-10-Diagnose mit Somatropin-Verordnungen) als Schätzung besser geeignet.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU beschreibt auf Grundlage der GKV-Routinedatenanalyse [3] für die Jahre 2017 bis 2019 eine leichte jährliche Abnahme der Inzidenz des GHD, die durch einen Anstieg im Jahr 2020 etwa auf Höhe des Ausgangsniveau unterbrochen wird. Für die Prävalenz kann er keine eindeutige Zu- oder Abnahme feststellen. Da keine erkennbare Tendenz festzustellen sei, verzichtet der pU auf die Schätzung konkreter Werte.

Der pU geht letztlich davon aus, dass aufgrund der Ätiologie der Erkrankung keine nennenswerte Veränderung der Inzidenz oder Prävalenz innerhalb der nächsten 5 Jahre zu erwarten ist.

3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

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

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Somapacitan	Kinder ab 3 Jahren und Jugendliche mit Wachstumsstörung aufgrund eines Wachstumshormonmangels	6702–8218	Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV sind u. a. aufgrund des Fehlens eines spezifischen ICD-10-Codes für GHD mit Unsicherheit behaftet.
a. Angabe des pU GHD: Wachstumshormonmangel; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; ICD-10: Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision; 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.

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 ganze 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 weitgehend der Fachinformation [2].

Der Verbrauch richtet sich gemäß der Fachinformation nach dem Körpergewicht und beträgt wöchentlich 0,16 mg Somapacitan/kg Körpergewicht [2]. Der pU legt für seine Berechnungen das durchschnittliche Körpergewicht gemäß den Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2017 [9] zugrunde. Der pU berechnet den Verbrauch von Somapacitan im Rahmen einer Spanne, deren untere Grenze durch das durchschnittliche Körpergewicht von Kindern im Alter von 3 bis unter 4 Jahren (16,2 kg) und deren obere Grenze durch das durchschnittliche Körpergewicht von Personen im Alter von 17 bis unter 18 Jahren (67,0 kg) abgebildet wird. Demnach liegt die Verbrauchsspanne bei 2,59 mg (gerundete Angabe des pU) bis 10,72 mg Somapacitan wöchentlich.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Somapacitan geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.11.2023, der erstmaligen Listung, wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU veranschlagt für Somapacitan keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen. Abweichend von der Angabe des pU können Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen, wie zum Beispiel für die Überwachung der Schilddrüsenfunktion oder die Anschaffung von Einwegnadeln für den Fertipen, anfallen [2].

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Somapacitan Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 13 815,20 € bis 57 181,05 €. Sie bestehen ausschließlich aus Arzneimittelkosten. Die vom pU ausgewiesenen Arzneimittelkosten sind in ihrer oberen Grenze plausibel und in ihrer unteren Grenze trotz geringfügiger Abweichungen aufgrund der Rundung bei der Verbrauchsberechnung in der Größenordnung plausibel. Es entstehen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen, die der pU nicht veranschlagt.

3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 2: 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 € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Somapacitan	Kinder ab 3 Jahren und Jugendliche mit Wachstumsstörung aufgrund eines Wachstumshormonmangels	13 815,20– 57 181,05	0	0	13 815,20– 57 181,05	Die Arzneimittelkosten sind in ihrer oberen Grenze plausibel und in ihrer unteren Grenze in der Größenordnung plausibel. Es entstehen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen, die der pU nicht veranschlagt.
<p>a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>						

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU liefert Angaben zu Kontraindikationen, Therapieabbrüchen sowie Patientenpräferenzen und erwartet eine überwiegend ambulante Versorgung mit Somapacitan. Er nimmt an, dass sich die Präferenzen therapienaiver und -erfahrener Patientinnen und Patienten zugunsten einer wöchentlichen Applikation verschieben und erwartet hierdurch eine gesteigerte Therapieadhärenz und -persistenz. Quantitative Angaben liegen dazu nicht vor. Eine fundierte Schätzung der zu erwartenden Versorgungsanteile ist laut pU derzeit nicht möglich.

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. Novo Nordisk. Sogroya [online]. 2023 [Zugriff: 01.12.2023]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
3. Novo Nordisk. Prevalence and Incidence of Growth Hormone Deficiency in Children (GHD) and Adults (AGHD) and the Target Population of Somapacitan in Germany: Analysis of German Claims Data to Support the Epidemiology Section (Module 3) of the AMNOG Dossier (§ 35a SGB V) for Somapacitan - Final Report [unveröffentlicht]. 2022.
4. Bundesgesundheitsministerium. Gesetzliche Krankenversicherung: Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand - Jahresdurchschnitt 2020 (Ergebnisse der GKV-Statistik KM1/13); Stand: 24. März 2021 [online]. 2021 [Zugriff: 02.02.2023]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_JD_2020_CPS_bf.pdf.
5. Pfizer Pharma. Somatrogen (Ngenla); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2022 [Zugriff: 08.07.2022]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/815/#dossier>.
6. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Somatrogen (Hormonelle Wachstumsstörung) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2022 [Zugriff: 04.07.2022]. URL: https://www.iqwig.de/download/g22-11_somatrogen_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf.
7. Ascendis Pharma. Lonapegsomatropin (Skytrofa); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2023 [Zugriff: 19.12.2023]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/996/>.
8. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Lonapegsomatropin (Hormonelle Wachstumsstörung); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2023 [Zugriff: 03.01.2024]. URL: <https://dx.doi.org/10.60584/G23-23>.
9. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (Größe in m, Gewicht in kg). Gliederungsmerkmale: Jahre, Deutschland, Alter, Geschlecht [online]. 2017 [Zugriff: 08.02.2023]. URL: https://www.gbe-bund.de/gbe/!pkg_olap_tables.prc_set_orientation?p_uid=gast&p_aid=76685446&p_sprache=D&p_help=2&p_indnr=223&p_ansnr=35489174&p_version=2&D.000=3&D.002=2&D.003=1&D.100=1.

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“. 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
Rascher, Wolfgang	nein	ja	ja	nein	nein	nein	nein

Im „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ 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?