

# **Blinatumomab**

## **(ALL mit Hochrisiko-Erstrezidiv: Kinder $\geq$ 1 Monat bis $<$ 1 Jahr)**

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

A horizontal bar composed of several colored segments in shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue segment.

### **DOSSIERBEWERTUNG**

Projekt: G25-08

Version: 1.0

Stand: 27.05.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2014

DOI: 10.60584/G25-08

# Impressum

## Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## Thema

Blinatumomab (ALL mit Hochrisiko-Erstrezidiv: Kinder  $\geq$  1 Monat bis  $<$  1 Jahr) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

## Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

## Datum des Auftrags

27.02.2025

## Interne Projektnummer

G25-08

## DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-08>

## Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen  
Siegburger Str. 237  
50679 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**

**Zitiervorschlag**

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Blinatumomab (ALL mit Hochrisiko-Erstrezidiv: Kinder  $\geq$  1 Monat bis  $<$  1 Jahr); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-08>.

**Schlagwörter**

Blinatumomab, Vorläufer-lymphoblastisches Lymphom, Kleinkind, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

**Keywords**

Blinatumomab, Precursor Cell Lymphoblastic Leukemia-Lymphoma, Infant, Health Care Costs, Epidemiology

**Medizinisch-fachliche Beratung**

Für die vorliegende Dossierbewertung wurde keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen eingebunden.

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

- Katharina Frangen
- Christiane Balg
- Tim Mathes
- Corinna ten Thoren

# Inhaltsverzeichnis

	Seite
<b>Tabellenverzeichnis .....</b>	<b>v</b>
<b>Abkürzungsverzeichnis.....</b>	<b>vi</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 F, 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.....	6
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten .....	6
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 F, 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 .....	8
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	9
3.2.7 Versorgungsanteile.....	10
<b>3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer         an deutschen Prüfstellen (Modul 3 F, Abschnitt 3.6).....</b>	<b>10</b>
<b>4 Literatur .....</b>	<b>11</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 .....	9

# Abkürzungsverzeichnis

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
ALL	akute lymphatische Leukämie
CD	Cluster of Differentiation (charakteristischer Marker)
DKKR	Deutsches Kinderkrebsregister
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KOF	Körperoberfläche
Ph	Philadelphia-Chromosom
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

## 1 Hintergrund

### 1.1 Anwendungsgebiet

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

Blinatumomab wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq$  1 Monat bis  $<$  1 Jahr mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Philadelphia-Chromosom(Ph)-negativen, Cluster-of-Differentiation(CD)19-positiven B-Vorläufer-akuter-lymphatischer-Leukämie (ALL) im Rahmen der Konsolidierungstherapie.

### 1.2 Verlauf des Projekts

Blinatumomab 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.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), 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 27.02.2025 übermittelt.

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. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

---

<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**

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 F, Abschnitt 3.2)

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

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

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

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation [1]. Demnach wird Blinatumomab gemäß dem neu zugelassenen Anwendungsgebiet als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq$  1 Monat bis  $<$  1 Jahr mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie.

##### 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 über 2 Ansätze (im Folgenden als Ansatz A und B bezeichnet), wobei Ansatz A eine Herleitung auf Basis einer Registereauswertung darstellt und Ansatz B auf Literaturangaben basiert. Die beiden Ansätze sind in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt und werden anschließend beschrieben.

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

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil [%]	Ergebnis (Patientenzahl)
<b>A</b>	<b>Inzidenzbestimmung mittels Registereauswertung</b>		
	Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL im Alter von $<$ 1 Jahr <sup>a</sup>	-	0,67
<b>B</b>	<b>Inzidenzbestimmung mittels Literaturangaben</b>		
1	pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von $\geq$ 1 Jahr bis $<$ 18 Jahren mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL <sup>a</sup>	-	7–30
2	davon diejenigen im Alter von $\geq$ 1 Monat bis $<$ 1 Jahr	2,35	0,16–0,71
<b>A + B</b>	<b>Fazit aus Ansatz A und B</b>		
	Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	88,2	$<$ 1

a. durchschnittlich pro Kalenderjahr  
 ALL: akute lymphatische Leukämie; CD: Cluster of Differentiation; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; Ph: Philadelphia-Chromosom; pU: pharmazeutischer Unternehmer

**Ansatz A: Inzidenzbestimmung mittels Registerauswertung**

Zur Bestimmung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation zieht der pU eine Sonderauswertung des deutschen ALL-Rezidiv-Registers (ALL-REZ BFM) heran [2], die sich auf die Jahre 2015 bis 2020 bezieht. Auf Basis der Auswertung ermittelt der pU eine durchschnittliche Anzahl von 0,67 pädiatrischen Patientinnen und Patienten pro Kalenderjahr im Alter von  $< 1$  Jahr mit einem Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL.

**Ansatz B: Inzidenzbestimmung mittels Literaturangaben**

Die oben dargestellte Registerauswertung ergänzt der pU um eine literaturgestützte Herleitung, die nachfolgend beschrieben wird.

***Ansatz B, Schritt 1: pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq 1$  Jahr bis  $< 18$  Jahren mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL***

Für die Ausgangsbasis der literaturbasierten Herleitung verweist der pU auf ein vorangegangenes Verfahren zu Blinatumomab aus dem Jahr 2021 [3] (Beschlussfassung Anfang 2022) im identischen Anwendungsgebiet, allerdings in der Altersklasse der Patientinnen und Patienten von  $\geq 1$  Jahr bis  $< 18$  Jahren. Für seine weitere Berechnung legt der pU eine Anzahl von 7 bis 30 pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq 1$  Jahr bis  $< 18$  Jahren mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie zugrunde, die er dem zugehörigen Beschluss [4] entnimmt.

***Ansatz B, Schritt 2: Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq 1$  Monat bis  $< 1$  Jahr***

Zur Eingrenzung der Patientenpopulation aus Schritt 1 auf die pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq 1$  Monat bis  $< 1$  Jahr zieht der pU eine Auswertung des Deutschen Kinderkrebsregisters (DKKR) aus den Jahren 2009 bis 2015 heran [5], in der die Fallzahlen der Inzidenz der lymphatischen Leukämie in den Altersklassen der 0- bis 17-Jährigen angegeben sind. Auf Basis der Auswertung ermittelt der pU zunächst einen Anteilswert von 2,3 % der 0- bis  $< 1$ -Jährigen an den 0- bis 17-Jährigen und geht im Umkehrschluss davon aus, dass die Patientenzahlen aus dem Beschluss des vorangegangenen Verfahrens (siehe Ansatz B, Schritt 1) einen Anteil von 97,7 % ausmachen. Durch Division des Anteilswertes der 0- bis  $< 1$ -Jährigen durch den Anteilswert der 1- bis 17-Jährigen ermittelt der pU schließlich einen Anteilswert von 2,35 %. Diesen überträgt er auf die Spanne aus Ansatz B, Schritt 1 und gibt eine Anzahl von 0,16 bis 0,71 pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von  $\geq 1$  Monat bis  $< 1$  Jahr an.

**Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation**

Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von 88,2 % [6,7] ermittelt der pU eine Anzahl von  $< 1$  Patientin bzw. Patient in der GKV-Zielpopulation.

### 3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Schätzung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist rechnerisch und methodisch für Ansatz A nachvollziehbar. Auch für Ansatz B ist das Vorgehen des pU grundsätzlich nachvollziehbar, da die Patientenzahlen aus dem vorangegangenen Verfahren als in einer plausiblen Größenordnung liegend bewertet wurden [3]. Es ist jedoch darauf hinzuweisen, dass der Anteilswert aus Ansatz B, Schritt 2 auf Basis einer Auswertung des DKKR ermittelt wurde, die sich auf lymphatische Leukämien bezieht, und somit nicht uneingeschränkt auf die spezifische Patientenpopulation aus Ansatz B, Schritt 1 (Vorliegen einer Ph-negativen, CD-19 positiven B-Vorläufer-ALL) übertragbar ist. Auch sind die Patientenzahlen aus dem Beschluss des vorangegangenen Verfahrens aus Ansatz B, Schritt 1 bereits auf jene Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation eingegrenzt, sodass ein GKV-Anteil auf die hier in Ansatz B ermittelten Patientinnen und Patienten nicht erneut übertragen werden muss. Trotz der genannten Aspekte liegt die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation insgesamt in einer plausiblen Größenordnung.

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

Der pU erwartet unter Berücksichtigung der Daten einer gesonderten Auswertung des DKKR [8] für die Inzidenz der ALL in den Jahren 2018 bis 2022 keine wesentlichen Veränderungen der Inzidenz der ALL in den kommenden 5 Jahren.

### 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
Blinatumomab	pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von $\geq$ 1 Monat bis $<$ 1 Jahr mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie	$<$ 1	Die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist in der Größenordnung plausibel.
a. Angabe des pU ALL: akute lymphatische Leukämie; CD: Cluster of Differentiation; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; Ph: Philadelphia-Chromosom; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

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

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

### 3.2.1 Behandlungsdauer

Laut Fachinformation können pädiatrische Patientinnen und Patienten mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL 1 Behandlungszyklus (28 Tage) erhalten [1].

### 3.2.2 Verbrauch

Laut Fachinformation wird Blinatumomab für pädiatrische Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht  $<$  45 kg als intravenöse Dauerinfusion über 28 Tage mit einer Dosis von  $15 \mu\text{g}/\text{m}^2/\text{Tag}$  empfohlen [1].

Der Verbrauch richtet sich für diese Patientengruppe nach der Körperoberfläche (KOF). Der pU legt für seine Berechnungen die DuBois-Formel und die durchschnittlichen Körpermaße für unter 1-Jährige gemäß den Mikrozensusdaten aus dem Jahr 2017 [9] zugrunde. Es ergibt sich eine KOF von  $0,36 \text{ m}^2$ . In der Tabelle der Fachinformation mit Angaben zur Anzahl an benötigten Durchstechflaschen von Blinatumomab in Abhängigkeit der KOF ist die ermittelte KOF von  $0,36 \text{ m}^2$  nicht aufgeführt. Laut Fachinformation wurde die Sicherheit der Anwendung von Blinatumomab bei einer KOF von weniger als  $0,4 \text{ m}^2$  nicht nachgewiesen [1].

Der pU legt eine Gesamtanzahl von 7 Durchstechflaschen mit je  $38,5 \mu\text{g}$  Blinatumomab zugrunde. Dies entspricht der benötigten Anzahl an Durchstechflaschen für die empfohlene Dosierung ( $15 \mu\text{g}/\text{m}^2/\text{Tag}$ ) und für die geringstmögliche KOF von  $0,4 \text{ m}^2$  bis  $0,49 \text{ m}^2$  aus der oben erwähnten Tabelle der Fachinformation [1]. Dabei ist ebenfalls berücksichtigt, dass die zubereitete Lösung von Blinatumomab 96 Stunden infundiert wird und Restmengen verworfen werden.

### 3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Blinatumomab geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 15.12.2024 wieder.

### 3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt an, dass zusätzlich notwendige GKV-Leistungen durch die Bereitstellung einer Infusionspumpe anfallen. Er berücksichtigt diese jedoch nicht, da seiner Ansicht nach eine Darstellung der Kosten für die Infusionspumpe aufgrund nicht öffentlich zugänglicher Kauf- und Leasingverträge nicht möglich sei.

Es fallen Kosten für die Herstellung einer parenteralen Lösung mit monoklonalen Antikörpern gemäß Hilfstaxe an, die der pU nicht bei den Jahrestherapiekosten berücksichtigt.

### 3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Blinatumomab im vorliegenden Anwendungsgebiet Jahrestherapiekosten in Höhe von 17 250,03 € pro Patientin bzw. Patient. Diese Angaben enthalten ausschließlich die Arzneimittelkosten. Die vom pU angegebenen Arzneimittelkosten sind plausibel.

Die Kosten für mögliche zusätzlich notwendige GKV-Leistungen und für die Herstellung parenteraler Lösungen nach Hilfstaxe bezieht der pU in die Berechnung der Jahrestherapiekosten nicht ein.

### 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>	Jahres-therapie-kosten in € <sup>a</sup>	Kommentar
Blinatumomab	pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von $\geq$ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie	17 250,03	k. A.	k. A.	17 250,03	Die Arzneimittelkosten sind plausibel. Die Kosten für mögliche zusätzlich notwendige GKV-Leistungen und für die Herstellung parenteraler Lösungen nach Hilfstaxe sind von den Jahrestherapiekosten nicht umfasst.
<p>a. Angabe des pU</p> <p>ALL: akute lymphatische Leukämie; CD: Cluster of Differentiation; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; k. A.: keine Angabe; Ph: Philadelphia-Chromosom; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>						

### 3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU nimmt an, dass ein Großteil der Zielpopulation eine Therapie mit Blinatumomab erhält. Aufgrund der geringen Patientenzahlen und der damit verbundenen hohen Unsicherheit seien jedoch keine quantitativen Angaben möglich.

Die Fachinformation macht keine konkreten Angaben zu der Länge eines stationären Aufenthalts für die hier betrachtete Patientengruppe mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-negativen, CD19-positiven B-Vorläufer-ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie.

### 3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 F, Abschnitt 3.6)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, befinden sich in Modul 3 F (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der Kommentar zu den Angaben des pU entfällt, da das zu bewertende Arzneimittel vor dem 01.01.2025 in Verkehr gebracht wurde und somit die Anzahl an Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmern nicht anzugeben ist.

#### 4 Literatur

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

1. Amgen. Fachinformation BLINCYTO 38,5 Mikrogramm Pulver für ein Konzentrat und Lösung zur Herstellung einer Infusionslösung [online]. 01.2025. URL: <https://www.fachinfo.de/>.
2. All-Rez Bfm Register. Pädiatrische Patienten mit Ph-, CD19+ Hochrisiko B-Vorläufer ALL im ersten Rezidiv in Deutschland von 2015 bis 2020 nach Altersklasse. Data on file 2021.
3. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Blinatumomab (ALL mit Hochrisiko-Erstrezidiv: Kinder  $\geq 1$  bis  $< 18$  Jahren) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2021 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: [https://www.iqwig.de/download/g21-23\\_blinatumomab\\_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v\\_v1-0.pdf](https://www.iqwig.de/download/g21-23_blinatumomab_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf).
4. Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V): Blinatumomab (neues Anwendungsgebiet: Akute lymphatische B-Zell-Leukämie, Hochrisiko-Erstrezidiv, Ph-, CD19+,  $\geq 1$  und  $< 18$  Jahre) [online]. 2022. URL: [https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5233/2022-01-20\\_AM-RL-XII\\_Blinatumomab\\_D-703\\_BAnz.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5233/2022-01-20_AM-RL-XII_Blinatumomab_D-703_BAnz.pdf).
5. Deutsches Kinderkrebsregister. Lymphatische Leukämien 2009-2015; Kinder unter 18 Jahren [online]. 2016. URL: [https://www.kinderkrebsregister.de/fileadmin/kliniken/dkkr/pdf/aid/Aktuell/DE/u18/rptaid\\_1100\\_17\\_de.pdf](https://www.kinderkrebsregister.de/fileadmin/kliniken/dkkr/pdf/aid/Aktuell/DE/u18/rptaid_1100_17_de.pdf).
6. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung; Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand. Monatswerte Januar - November 2024; (Ergebnisse der GKV-Statistik KM1) [online]. 2024. URL: [https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3\\_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder\\_Versicherte/KM1\\_Januar\\_bis\\_November\\_2024.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_Januar_bis_November_2024.pdf).
7. Statistisches Bundesamt. Bevölkerung: Deutschland, Stichtag 31.12.2023 [online]. 2024. URL: <https://www-genesis.destatis.de/genesis/online?operation=abruftabelleBearbeiten&levelindex=2&levelid=1723648585989&auswahloperation=abruftabelleAuspraegungAuswaehlen&auswahlverzeichnis=ordnungsstruktur&auswahlziel=werteabruf&code=12411-0001&auswahltext=&werteabruf=Werteabruf#abreadcrumb>.
8. Deutsches Kinderkrebsregister. Lymphatische Leukämien 2009-2022. Data on file 2024.

9. Statistisches Bundesamt. Körpermaße nach Altersgruppen und Geschlecht 2021 [online]. 2023 [Zugriff: 02.09.2024]. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Tabellen/liste-koerpermasse.html>.