

Setmelanotid

(Adipositas und Kontrolle des Hungergefühls bei POMC-, PCSK1- oder LEPR-Mangel oder Bardet-Biedl-Syndrom, 2 bis < 6 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 middle of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G25-10

Version: 1.0

Stand: 27.05.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2016

DOI: 10.60584/G25-10

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Setmelanotid (Adipositas und Kontrolle des Hungergefühls bei POMC-, PCSK1- oder LEPR-Mangel oder Bardet-Biedl-Syndrom, 2 bis < 6 Jahre) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

27.02.2025

Interne Projektnummer

G25-10

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-10>

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

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Setmelanotid (Adipositas und Kontrolle des Hungergefühls bei POMC-, PCSK1- oder LEPR-Mangel oder Bardet-Biedl-Syndrom, 2 bis < 6 Jahre); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-10>.

Schlagwörter

Setmelanotid, Adipositas, Kind, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Setmelanotide, Obesity, Child, 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

- Sarah Mostardt
- Sonja Schiller
- Stefan Kobza

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
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.....	6
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	7
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	8
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	8
3.2.1 Behandlungsdauer.....	8
3.2.2 Verbrauch	8
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	9
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	9
3.2.5 Jahrestherapiekosten	9
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	10
3.2.7 Versorgungsanteile.....	11
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen	11
4 Literatur	12

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	5
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	8
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	10

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
BBS	Bardet-Biedl-Syndrom
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
LEPR	Leptinrezeptor
PCSK1	Proprotein-Convertase Subtilisin/Kexin Type 1
POMC	Proopiomelanocortin
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Setmelanotid wird angewendet bei Erwachsenen und Kindern ab 2 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem Bardet-Biedl-Syndrom (BBS), durch Funktionsverlustmutationen bedingtem biallelischem Proopiomelanocortin(POMC)-Mangel (einschließlich Proprotein-Convertase Subtilisin/Kexin Type 1 [PCSK1]) oder biallelischem Leptinrezeptor(LEPR)-Mangel.

Die vorliegende Bewertung bezieht sich ausschließlich auf Kinder von 2 bis < 6 Jahren, um die das Anwendungsgebiet von Setmelanotid nun erweitert wurde.

1.2 Verlauf des Projekts

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

¹ 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).

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

Der pU stellt die genetisch bedingte Adipositas nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Setmelanotid [1]. Demnach wird Setmelanotid im Rahmen der Erweiterung des Anwendungsgebiets bei Kindern von 2 bis < 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem BBS, durch Funktionsverlustmutationen bedingtem biallelischem POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder biallelischem LEPR-Mangel angewendet.

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Bei der Ermittlung der GKV-Zielpopulation geht der pU analog zum Vorgehen bei den beiden vorherigen Verfahren zu Setmelanotid bei folgenden Anwendungsgebieten vor:

- Erwachsene und Kinder ab 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem, durch Funktionsverlustmutationen bedingtem biallelischem POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder biallelischem LEPR-Mangel [2,3] und
- Erwachsene und Kinder ab 6 Jahren zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls im Zusammenhang mit genetisch bestätigtem BBS [4,5].

Der pU ermittelt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte (siehe Tabelle 1):

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

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Personenzahl)
1	Kinder von 2 bis < 6 Jahren in Deutschland im Jahr 2025	-	3 200 000
2	Kinder von 2 bis < 6 Jahren in der GKV	89 %	2 848 000
3a	von Schritt 2: Kinder mit Adipositas im Zusammenhang mit POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder LEPR-Mangel	0,02–0,04 je 10 000	6–11
3b1	von Schritt 2: Kinder mit BBS	0,06–0,17 je 10 000	17–48
3b2	von Schritt 3b1: Kinder mit Adipositas	83 %	14–39
4	GKV-Zielpopulation (Summe aus Schritten 3a und 3b2)	-	20–50

BBS: Bardet-Biedl-Syndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LEPR: Leptinrezeptor; PCSK1: Proprotein-Convertase Subtilisin/Kexin Type 1; POMC: Proopiomelanocortin; pU: pharmazeutischer Unternehmer

Schritt 1: Kinder von 2 bis < 6 Jahren in Deutschland im Jahr 2025

Der pU entnimmt einer Quelle des Statistischen Bundesamtes eine Anzahl von 3 200 000 Personen von 2 bis < 6 Jahren in Deutschland [6].

Schritt 2: Kinder von 2 bis < 6 Jahren in der GKV

Basierend auf den Daten der KM1-Statistik des GKV-Spitzenverbands zum Stand Dezember 2024 geht der pU von einem GKV-Anteil von 89 % aus und berechnet ausgehend von Schritt 1 eine Anzahl von 2 848 000 GKV-Versicherten von 2 bis < 6 Jahren in Deutschland.

Schritt 3a: von Schritt 2 diejenigen Kinder mit Adipositas im Zusammenhang mit POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder LEPR-Mangel

Der pU verwendet für den Anteil an Patientinnen und Patienten mit Adipositas bedingt durch POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder LEPR-Mangel die Angaben aus Orphanet. Er zieht die Prävalenzangaben unter folgenden krankheitsspezifischen ORPHAcodes heran:

- < 1 pro 1 Million Personen unter dem ORPHAcode 71526 „Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel“ für den POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) [7]
- < 1 pro 1 Million Personen unter dem ORPHAcode 66628 „Adipositas durch angeborenen Leptinmangel“ für den LEPR-Mangel [8]

Dies entspricht jeweils einer Prävalenz von < 0,01 pro 10 000 Personen. Als Untergrenze bildet der pU mithilfe dieser Angaben eine Prävalenz von 0,02 pro 10 000 Personen und als Obergrenze nimmt er das Doppelte der Untergrenze an (0,04 pro 10 000 Personen).

Angewendet auf Schritt 2 ergibt sich somit laut pU eine Anzahl von 6 bis 11 Patientinnen und Patienten von 2 bis < 6 Jahren mit Adipositas im Zusammenhang mit POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder LEPR-Mangel in der GKV-Zielpopulation.

Schritt 3b1: von Schritt 2 diejenigen Kinder mit BBS

Für die Festlegung der Prävalenz des BBS bildet der pU eine Spanne mit Prävalenzangaben aus verschiedenen Quellen: Aus 3 Publikationen entnimmt der pU jeweils die Untergrenze von 0,06 pro 10 000 Personen [9-11]. Die Obergrenze von 0,17 pro 10 000 Personen entnimmt der pU aus Orphanet [12]. Angewendet auf die Anzahl der GKV-Versicherten aus Schritt 2 ergibt sich eine Anzahl von 17 bis 48 Patientinnen und Patienten von 2 bis < 6 Jahren in der GKV mit BBS.

Schritt 3b2: von Schritt 3b1 diejenigen Kinder mit Adipositas

Der pU leitet einen Anteilswert in Höhe von 83 % für den Anteil an adipösen Personen innerhalb der Patientengruppe mit BBS ab, indem er den Mittelwert einer angegebenen Spanne (72 % bis 92 %) aus einer Übersichtsarbeit von Forsythe und Beales [13] zu verschiedenen Studien des BBS bildet. Angewendet auf die Spanne aus Schritt 3b1 ergeben sich 14 bis 39 Patientinnen und Patienten von 2 bis < 6 Jahren in der GKV mit BBS und Adipositas.

Schritt 4: GKV-Zielpopulation (Summe aus Schritten 3a und 3b2)

Die GKV-Zielpopulation ergibt sich aus der Summe der Schritte 3a und 3b2 und umfasst 20 bis 50 Patientinnen und Patienten.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sind rechnerisch nachvollziehbar. Im Besonderen stellt sich die Frage, inwieweit die angewendeten Anteile, die in den Quellen ohne Altersbeschränkung angegeben sind, ebenso auf die Altersklasse 2 bis < 6 Jahre übertragbar sind. Da der pU die gleiche Herleitung wie in den beiden vorherigen Verfahren verwendet, gelten die dort angemerkten Kritikpunkte [2,4] auch im vorliegenden Verfahren, z. B. Folgende:

Zu Schritt 3a: Kinder mit Adipositas im Zusammenhang mit POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) und LEPR-Mangel

Die vom pU ermittelten Prävalenzangaben beinhalten Unsicherheiten aus verschiedenen Gründen:

- Es kann davon ausgegangen werden, dass die relevante Adipositas im Zusammenhang mit LEPR-Mangel unter einem abweichenden ORPHAcod als dem vom pU herangezogenen aufgeführt ist:
 - ORPHAcod 179494 „Adipositas durch Leptin-Rezeptor-Genmutationen“ anstelle des oben beschriebenen ORPHAcod 66628

Zu Schritt 3b1: Kinder mit BBS

Die Angaben des pU zur Prävalenz der Untergrenze [9-11] beruhen auf sehr alten Daten. Es ist möglich, dass die Prävalenzangabe zur Untergrenze potenziell unterschätzt ist, da verschiedene Genotypen des BBS zum Zeitpunkt der jeweiligen Untersuchungen noch nicht bekannt gewesen sein dürften.

Zu Schritt 3b2: Kinder mit BBS und mit Adipositas

Der pU operationalisiert die im Anwendungsgebiet genannten Kriterien der Adipositas bzw. des zu kontrollierenden Hungergefühls über das alleinige Vorliegen einer Adipositas. Es bleibt unklar, ob das Anwendungsgebiet auch nicht adipöse Patientinnen und Patienten mit BBS und mit zu kontrollierendem Hungergefühl betrifft. Vor diesem Hintergrund wird empfohlen, anstelle des mittleren Wertes die Spanne für den Anteilswert adipöser Personen mit BBS von 72 % bis 92 % anzusetzen und die Patientenzahl entsprechend zu kalkulieren.

Bei Berücksichtigung einer Spanne für den Anteil adipöser Patientinnen und Patienten (72 % bis 92 %) resultiert eine GKV-Zielpopulation von ca. 18 bis 56 Personen.

Die Angaben des pU sind mit Unsicherheit behaftet, was insbesondere auf die ältere Evidenz sowie die Frage der Übertragbarkeit der verwendeten Anteile auf die hier relevante Altersgruppe zurückzuführen ist.

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU nimmt an, dass die ermittelten Anteile zur Prävalenz der Adipositas im Zusammenhang mit einem BBS, einem POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) und LEPR-Mangel im Zeitraum von 2025 bis 2030 keine Änderung erfahren werden und sich die Bevölkerung in diesem Zeitraum nur geringfügig reduziert.

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 ^a	Kommentar
Setmelanotid	Kinder von 2 bis < 6 Jahren mit genetisch bestätigtem BBS, durch Funktionsverlustmutationen bedingtem biallelischem POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder biallelischem LEPR-Mangel, zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls, davon	20–50	Die Angaben des pU sind mit Unsicherheit behaftet, was insbesondere auf die ältere Evidenz sowie die Frage der Übertragbarkeit der verwendeten Anteile auf die hier relevante Altersgruppe zurückzuführen ist.
	mit BBS	14–39	
	mit POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder LEPR-Mangel	6–11	
a. Angaben des pU BBS: Bardet-Biedl-Syndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LEPR: Leptinrezeptor; PCSK1: Proprotein-Convertase Subtilisin/Kexin Type 1; POMC: Proopiomelanocortin; 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 macht Angaben zum Verbrauch und den Jahrestherapiekosten von Setmelanotid für Patientinnen und Patienten einerseits ohne Nierenfunktionsstörung und andererseits mit Nierenfunktionsstörung. In Übereinstimmung mit vorherigen Verfahren [2,4,14,15] zu Setmelanotid werden in der vorliegenden Bewertung ausschließlich die Angaben des pU zu Patientinnen und Patienten ohne Nierenfunktionsstörung dargestellt und bewertet.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Setmelanotid entsprechen der Fachinformation [1].

Der pU geht von einer kontinuierlichen Behandlung aus. Dies ist plausibel.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch gelten je Folgejahr der Behandlung. Die vom pU angegebene Spanne des Verbrauchs entspricht der Fachinformation [1].

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

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

Für die weitere Kostenberechnung berücksichtigt der pU ausschließlich Packungen zu je 1 Stück. Die wirtschaftlicheren Packungen zu je 10 Stück bleiben somit vom pU unberücksichtigt.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU veranschlagt Kosten für Feindosierungsspritzen in Höhe von 27,73 € pro Packung zu je 100 Stück. Davon abweichend ist der Lauer-Taxe mit Stand vom 15.12.2024 für dieses Produkt ein Herstellerabgabepreis von 25,89 € zu entnehmen. Der pU ordnet die Kosten für Feindosierungsspritzen den Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) statt den Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zu.

Der pU setzt außerdem Kosten gemäß Einheitlichem Bewertungsmaßstab für 1 Hautuntersuchung pro Jahr sowie für 4 Kontrolluntersuchungen von Herzfrequenz und Blutdruck pro Jahr an. Dies ist weitgehend nachvollziehbar.

Darüber hinaus gibt der pU Kosten für eine Überwachung in Zusammenhang mit Depression und suizidalen Gedanken an, die gemäß Fachinformation jedoch ausschließlich für die Patientengruppe mit Depressionen notwendig ist [1].

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Setmelanotid Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 35 208,54 € bis 175 025,44 €. Sie bestehen aus Arzneimittelkosten, Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen sowie Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe).

Die untere Grenze der vom pU angegebenen Arzneimittelkosten ist in der Größenordnung plausibel, die obere Grenze jedoch wegen der fehlenden Berücksichtigung der wirtschaftlicheren Packungsgröße (siehe Abschnitt 3.2.3) überschätzt.

Die vom pU angesetzten Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) sind den Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zuzuordnen. In Summe sind die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen auf Basis der Angaben des pU in der Größenordnung plausibel.

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 € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Setmelanotid	Kinder von 2 bis < 6 Jahren mit genetisch bestätigtem BBS, durch Funktionsverlustmutationen bedingtem biallelischem POMC-Mangel (einschließlich PCSK1) oder biallelischem LEPR-Mangel, zur Behandlung von Adipositas und zur Kontrolle des Hungergefühls	34 954,23– 174 771,13	153,10	101,21	35 208,54– 175 025,44	Die untere Grenze der angegebenen Arzneimittelkosten ist in der Größenordnung plausibel, die obere Grenze jedoch wegen fehlender Berücksichtigung einer wirtschaftlicheren Packungsgröße überschätzt. Die angesetzten Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) sind den Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zuzuordnen. In Summe sind die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in der Größenordnung plausibel.

a. Angabe des pU

BBS: Bardet-Biedl-Syndrom; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; LEPR: Leptinrezeptor; PCSK1: Proprotein-Convertase Subtilisin/Kexin Type 1; POMC: Proopiomelanocortin; pU: pharmazeutischer Unternehmer

3.2.7 Versorgungsanteile

Laut pU sind zum jetzigen Zeitpunkt keine Angaben verfügbar, die eine sichere Abschätzung des zukünftigen Versorgungsanteils von Setmelanotid im vorliegenden Altersbereich erlauben.

Dem pU zufolge bestehen – mit Ausnahme von Kontraindikationen – keine Gegenanzeigen und Warnhinweise, die einzelne Patientengruppen im Anwendungsgebiet von einer Behandlung mit Setmelanotid ausschließen.

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen

Ein Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen 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. Rhythm P. Fachinformation. Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels. IMCIVREE 10mg/ml Injektionslösung. 2024.
2. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Setmelanotid (Adipositas und Kontrolle des Hungergefühls bei POMC-, PCSK1- oder LEPR-Mangel) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2022 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/g22-21_setmelanotid_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf.
3. Rhythm Pharmaceuticals. Setmelanotide (IMCIVREE); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2022 [Zugriff: 09.09.2022]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/837/#dossier>.
4. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Setmelanotid (Bardet-Biedl-Syndrom); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2023 [Zugriff: 23.08.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/g23-12_setmelanotid_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf.
5. Rhythm Pharmaceuticals. Setmelanotid (IMCIVREETM); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2023 [Zugriff: 06.09.2023]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/959/#dossier>.
6. Statistisches B. 15. Koordinierte Bevölkerungsberechnung für Deutschland. Bevölkerung in Altersgruppe 2 bis < 6 Jahre. 2022.
7. Orphanet. ORPHA-Code 71526. Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel. 2024.
8. Orphanet. Adipositas durch angeborenen Leptinmangel. 2025.
9. Janssen S, Ramaswami G, Davis EE et al. Mutation analysis in Bardet-Biedl syndrome by DNA pooling and massively parallel resequencing in 105 individuals. Hum Genet 2011; 129(1): 79-90. <https://doi.org/10.1007/s00439-010-0902-8>.
10. Forsythe E, Beales PL. Bardet-Biedl syndrome. Eur J Hum Genet 2013; 21(1): 8-13. <https://doi.org/10.1038/ejhg.2012.115>.
11. Rooryck C, Lacombe D. [Bardet-Biedl syndrome]. Ann Endocrinol (Paris) 2008; 69(6): 463-471. <https://doi.org/10.1016/j.ando.2008.10.001>.
12. Orphanet. ORPHA-Code 110. Bardet-Biedl-Syndrom. September 2024. 2024.
13. Forsythe E, Beales PL. Bardet-Biedl syndrome. Eur J Hum Genet 2013; 21(1): 8-13. <https://doi.org/https://dx.doi.org/10.1038/ejhg.2012.115>.

14. Gemeinsamer Bundesausschuss. Tragende Gründe zum 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) Setmelanotid (Adipositas und Kontrolle von Hunger, POMC-, PCSK1- oder LEPR-Mangel-Adipositas, ≥ 6 Jahre) [online]. 2022 [Zugriff: 20.03.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/40-268-9078/2022-12-01_AM-RL-XII_Setmelanotid_D-824_TrG.pdf.

15. Gemeinsamer Bundesausschuss. Tragende Gründe zum 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) Setmelanotid (neues Anwendungsgebiet: Adipositas und Kontrolle von Hunger, Bardet-Biedl-Syndrom, ≥ 6 Jahre) [online]. 2023 [Zugriff: 26.03.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/40-268-9934/2023-11-02_AM-RL-XII_Setmelanotid_D-941_TrG.pdf.