

Fedratinib (Myelofibrose)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V
(Ablauf Befristung)

A decorative horizontal bar spanning the width of the page, composed of 18 squares in various shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is centered in white text on a dark blue background.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G25-11

Version: 1.0

Stand: 27.05.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2017

DOI: 10.60584/G25-11

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Fedratinib (Myelofibrose) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

27.02.2025

Interne Projektnummer

G25-11

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-11>

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. Fedratinib (Myelofibrose); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V (Ablauf Befristung); Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-11>.

Schlagwörter

Fedratinib, Primäre Myelofibrose, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Fedratinib, Primary Myelofibrosis, 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

- Anja Schwalm
- Corinna ten Thoren
- Tim Mathes

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	8
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	8
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 (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)	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
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
JAK	Janus-assoziiertes Kinase-Inhibitor
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Fedratinib wird angewendet für die Behandlung krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptome bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit primärer Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose oder Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose, die nicht mit einem Janus-assoziierten Kinase (JAK)-Inhibitor vorbehandelt sind oder die mit Ruxolitinib behandelt wurden [1].

Die vorliegende Bewertung bezieht sich ausschließlich auf diejenigen Patientinnen und Patienten, die eine Vorbehandlung mit Ruxolitinib erhalten haben.

1.2 Verlauf des Projekts

Fedratinib 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.

Der pU hat für den zu bewertenden Wirkstoff bereits in einem früheren Nutzenbewertungsverfahren ein Dossier vorgelegt. Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.03.2021 übermittelt. In diesem Verfahren sprach der G-BA mit Beschluss vom 02.09.2021 eine Befristung des Beschlusses für die Gruppe der erwachsenen Patientinnen und Patienten mit primärer Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose oder Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose, die mit Ruxolitinib behandelt wurden bis zum 01.03.2025 aus [2].

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

1.3 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

Die Myelofibrose stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Fedratinib. Demnach ist Fedratinib angezeigt für die Behandlung krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptomen bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit primärer Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose oder Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose, die nicht mit einem Janus-assoziierten Kinase (JAK)-Inhibitor vorbehandelt sind oder die mit Ruxolitinib behandelt wurden [1,3].

Gegenstand der vorliegenden Dossierbewertung ist ausschließlich die folgende Patientengruppe, für die der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) mit Beschluss vom 02.09.2021 eine Befristung des Beschlusses bis zum 01.03.2025 aussprach [2]: erwachsene Patientinnen und Patienten mit primärer Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose oder Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose, die mit Ruxolitinib behandelt wurden.

Unter dem Begriff Myelofibrose werden in der vorliegenden Dossierbewertung, sofern nicht abweichend beschrieben, die primäre Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose und die Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose zusammengefasst.

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU berechnet zunächst als Grundgesamtheit 2776 bis 4703 Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation, die gemäß Fachinformation für eine Behandlung mit Fedratinib infrage kommen. Er orientiert sich dabei an der Vorgehensweise im Dossier zu Fedratinib aus dem Jahr 2021, deren Beschreibung und Bewertung der dazugehörigen Dossierbewertung zu entnehmen ist [4].

Anschließend leitet er die Anzahl der Patientinnen und Patienten für die im aktuellen Verfahren relevante Gruppe in mehreren Schritten her. Das Vorgehen des pU ist in Tabelle 1 zusammenfassend dargestellt und wird im Folgenden 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)
	Grundgesamtheit: ▪ Prävalenz der Myelofibrose^a in Deutschland im Jahr 2021 (6629 Patientinnen und Patienten) ▪ krankheitsbedingte Splenomegalie oder Symptome (53,0 %–72,4 %) ▪ Thrombozytenzahl $\geq 50 \times 10^9/l$ (79,0 %–98,0 %)	-	2776 bis 4703
1	Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose und mit Behandlung mit Ruxolitinib	-	1920
2	Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose und Abbruch der Behandlung mit Ruxolitinib	37,4–100 %	718 bis 1920
3	GKV-Anteil	89,2 %	640 bis 1712
a. Unter dem Begriff Myelofibrose werden die primäre Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose und die Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose zusammengefasst. GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

Grundgesamtheit

Der pU geht von derselben Prävalenzschätzung (6629 Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose in Deutschland) wie im Dossier zu Fedratinib aus dem Jahr 2021 aus [4] und nimmt in der Herleitung der Patientenzahlen 2 Anpassungen vor:

Er korrigiert die Obergrenze der Patientinnen und Patienten mit krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptomen auf einen Anteil von 72,4 % (73,8 % in der vorherigen Herleitung) auf Grundlage der Publikation von Mead et al. aus dem Jahr 2022 [5].

Für den Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer Thrombozytenzahl $\geq 50 \times 10^9/l$ bei Behandlungsbeginn gibt der pU mit Bezug auf die bereits im Dossier zu Fedratinib aus dem Jahr 2021 dargestellte Analyse [4] jetzt eine Obergrenze von 98,0 % an (98,2 % in der vorherigen Herleitung).

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose und mit Behandlung mit Ruxolitinib

Der pU verwendet einen Anteil von 0,0023 %, welchen er aus dem Dossier des vorherigen Verfahrens von Ruxolitinib aus dem Jahr 2014 mit Datenstand des Jahres 2013 ableitet [6]. Dieser bildete die Zahl der mit Ruxolitinib behandelten Patientinnen und Patienten an allen GKV-Patientinnen und Patienten des Jahres 2013 ab. Zu diesem Zeitpunkt war Ruxolitinib ausschließlich für die Behandlung der Myelofibrose zugelassen.

Anschließend multipliziert er den Anteil mit der deutschen Wohnbevölkerung von 83 470 000 Personen (fortgeschriebener Bevölkerungsstand zum 31.12.2023 auf Basis des Mikrozensus 2022) [7], woraus sich schließlich eine Zahl von 1920 Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose und Behandlung mit Ruxolitinib für das Jahr 2024 ergibt.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose und Abbruch der Behandlung mit Ruxolitinib

Der pU verwendet – wie bereits im Dossier zu Fedratinib aus dem Jahr 2021 [4] – eine Untergrenze von 37,4 % [8] für diejenigen, die eine Behandlung mit Ruxolitinib abgebrochen haben und noch leben und laut pU somit für eine Behandlung mit Fedratinib infrage kommen. Diesen Anteil entnimmt er einer retrospektiven Auswertung der nationalen Krebsregister Schwedens (Betrachtungszeitraum 2001 bis 2015) und Norwegens (Betrachtungszeitraum 2002 bis 2016) von Schain et al., in der von 190 mit Ruxolitinib behandelten Patientinnen und Patienten mit Diagnose Myelofibrose 71 die Therapie abgebrochen haben.

Für die Obergrenze (100,0 %) geht er davon aus, dass alle Patientinnen und Patienten unter Behandlung mit Ruxolitinib (Schritt 1) zu Fedratinib wechseln und für diese eine Anwendung von Fedratinib geeignet ist.

Unter Verwendung dieser Anteilsspanne (37,4 % bis 100,0 %) ermittelt der pU für diesen Schritt eine Anzahl von 718 bis 1920 Patientinnen und Patienten, die mit Ruxolitinib behandelt werden.

Schritt 3: Anwendung des GKV-Anteils

Unter Anwendung des GKV-Anteils von 89,2 % [7,9] auf die Anzahl der Patientinnen und Patienten aus Schritt 2 errechnet der pU eine Anzahl von 640 bis 1712 Patientinnen und Patienten in der GKV mit Myelofibrose, die mit Ruxolitinib behandelt wurden.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch nachvollziehbar, die Angaben des pU liegen unter Berücksichtigung der bestehenden Unsicherheiten in einer weitgehend plausiblen Größenordnung.

Zur Bestimmung der Grundgesamtheit

Für die Herleitung der Grundgesamtheit der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation gelten die in der Dossierbewertung zum vorherigen Verfahren von Fedratinib beschriebenen Unsicherheiten [4].

Der vom pU korrigierte Anteilswert der Obergrenze für Patientinnen und Patienten mit krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptomen wurde auf Grundlage der aktuelleren Publikation von Mead et al. [5] noch immer berechnet, indem die Anzahl der Patientinnen und

Patienten, bei denen initial die Therapieentscheidung „Watch and Wait“ getroffen wurde durch die Gesamtheit der Therapieentscheidungen im Beobachtungszeitraum dividiert wird. Da sich der Anteilswert damit nicht auf die Anzahl der eingeschlossenen Patientinnen und Patienten bezieht, ist dieser nicht zur Abschätzung des Anteils der Patientinnen und Patienten mit krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptomen geeignet.

Zu den Schritten 2 und 3

Für die Herleitung der Patientenzahlen für die im aktuellen Verfahren relevante Gruppe, der mit Ruxolitinib behandelten Patientinnen und Patienten ist folgendes zu beachten:

Der Anteil von 0,0023 % bezieht sich auf den Datenstand des Jahres 2013 und ist, wie vom pU angemerkt, aufgrund der fehlenden Aktualität dieser Schätzung seit der Markteinführung von Ruxolitinib und potenziell veränderter Marktdurchdringung mit Unsicherheit behaftet. Auch wenn Ruxolitinib mittlerweile für weitere Anwendungsgebiete zugelassen ist, was eine Interpretation von Verordnungszahlen ohne Diagnosezuordnung erschwert, wird eine Aktualisierung der Angaben zu den mit Ruxolitinib behandelten Patientinnen und Patienten empfohlen.

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

In dem vorangegangenen Verfahren zu Fedratinib aus dem Jahr 2021 wurde eine Anzahl von 633 bis 1694 Patientinnen und Patienten in der GKV mit Myelofibrose, die mit Ruxolitinib behandelt wurden, vom pU hergeleitet und als in der Größenordnung plausibel bewertet [4]. Abweichungen zu den aktuellen Zahlen ergeben sich durch aktuellere Angaben zum Umfang der deutschen Wohnbevölkerung sowie zum GKV-Anteil.

In einem weiteren Verfahren zu Momelotinib in einem vergleichbaren Anwendungsgebiet aus dem Jahr 2024 wurden vom pU u. a. auf Basis einer Routinedatenanalyse eine Anzahl von 963 bis 1421 Patientinnen und Patienten, die bereits mit Ruxolitinib behandelt wurden und sich mindestens in der Zweitlinientherapie befinden, hergeleitet. Im Rahmen der Dossierbewertung wurde darauf hingewiesen, dass dabei u. a. Patientinnen und Patienten unberücksichtigt bleiben, die eine Erstlinienbehandlung mit Ruxolitinib erhalten oder initiiert haben und noch keine weitere Therapielinie begonnen haben [10]. Im Rahmen des Beschlusses wurden stattdessen u. a. die Angaben aus dem Verfahren zu Fedratinib zugrunde gelegt [11,12].

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU erwartet in den nächsten Jahren keine wesentlichen Änderungen bei der Inzidenz, Prävalenz oder der Anzahl der GKV-Versicherten und geht daher von einer konstanten Anzahl der GKV-Patientinnen und -Patienten in der Zielpopulation aus.

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
Fedratinib	erwachsene Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose ^b , die mit Ruxolitinib behandelt wurden, zur Behandlung krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptome	640 bis 1712	Die Angaben des pU liegen unter Berücksichtigung der genannten Unsicherheiten in einer weitgehend plausiblen Größenordnung. Dennoch wird für eine präzisere Abschätzung eine Aktualisierung der Verordnungszahlen von Ruxolitinib, welche aus dem Jahr 2013 stammen, empfohlen.
a. Angabe des pU b. Unter dem Begriff Myelofibrose werden die primäre Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose und die Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose zusammengefasst. 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.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer entsprechen den Angaben in der Fachinformation [1]. Fedratinib wird täglich verabreicht. Da in der Fachinformation [1] keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert ist, wird in der vorliegenden Bewertung rechnerisch die Behandlung über das gesamte 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 der Fachinformation [1]. Demnach wird Fedratinib 1-mal täglich in einer Dosierung von 400 mg (4 Hartkapseln je 100 mg) verabreicht.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Fedratinib geben überwiegend korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.12.2024 wieder. Der pU gibt einen Apothekenrabatt von 1,77 € an, allerdings ist zu dem Stand der Lauer-Taxe ein Rabatt von 2,00 € zu veranschlagen.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU berücksichtigt ausschließlich die Untersuchung der Thiaminspiegel, die laut Fachinformation [1] in regelmäßigen Abständen während der Behandlung erhoben werden

sollten. Der pU setzt insgesamt 6 Untersuchungen pro Jahr an. Laut Fachinformation [1] kann die Häufigkeit der Untersuchung der Thiaminspiegel pro Jahr abweichen. Zudem sollten weitere Werte in regelmäßigen Abständen während der Behandlung erhoben werden (z. B. Leberfunktionswerte), die der pU nicht berücksichtigt.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Fedratinib Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 43 866,28 €. Die Jahrestherapiekosten beinhalten Arzneimittelkosten und Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen. Die Angaben des pU zu den Arzneimittelkosten liegen insgesamt in einer plausiblen Größenordnung, auch wenn ein zu geringer Apothekenrabatt berücksichtigt wurde. Die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen können abweichen.

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
Fedratinib	erwachsene Patientinnen und Patienten mit Myelofibrose ^b , die mit Ruxolitinib behandelt wurden, zur Behandlung krankheitsbedingter Splenomegalie oder Symptome	43 732,48	133,80	–	43 866,28	Die Angaben des pU zu den Arzneimittelkosten liegen insgesamt in einer plausiblen Größenordnung, auch wenn ein zu geringer Apothekenrabatt berücksichtigt wurde. Die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen können abweichen.
a. Angabe des pU b. Unter dem Begriff Myelofibrose werden die primäre Myelofibrose, Post-Polycythaemia Vera-Myelofibrose und die Post-Essentielle Thrombozythämie-Myelofibrose zusammengefasst. GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

3.2.7 Versorgungsanteile

Der Versorgungsanteil von Fedratinib lässt sich laut pU nicht zuverlässig quantifizieren. Er beschreibt, dass Fedratinib für diejenigen Patientinnen und Patienten eine Behandlungsmöglichkeit darstellt, für die eine Behandlung mit Ruxolitinib nicht oder nicht mehr infrage kommt. Der pU geht davon aus, dass ein erheblicher Teil der Patientinnen und Patienten im vorliegenden Anwendungsgebiet mit Fedratinib behandelt werden wird und keine Kontraindikationen die Versorgungsanteile von Fedratinib wesentlich beeinflussen. Er weist darauf hin, dass Fedratinib bei Patientinnen und Patienten mit Thiamin-Defizienz nicht angewendet werden sollte und geht davon aus, dass Fedratinib überwiegend im ambulanten Bereich eingesetzt wird.

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

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. Bristol Myers Squibb. Inrebic 100 mg Hartkapseln [online]. 05.2024 [Zugriff: 07.03.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
2. Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V; Fedratinib (Myelofibrose) [online]. 2021 [Zugriff: 07.03.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5003/2021-09-02_AM-RL-XII_Fedratinib_D-650_BAnz.pdf.
3. Celgene Europe. Fachinformation / Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels: Inrebic 100 mg Hartkapseln. Stand der Information: Februar 2021. 2021.
4. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Fedratinib (Myelofibrose) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2021 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/g21-10_fedratinib_bewertung-35a-absatz-1-satz-11-sgb-v_v1-0.pdf.
5. Mead AJ, Butt NM, Nagi W et al. A retrospective real-world study of the current treatment pathways for myelofibrosis in the United Kingdom: the REALISM UK study. Therapeutic advances in hematology 2022; 13: 20406207221084487. <https://doi.org/10.1177/20406207221084487>.
6. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Ruxolitinib – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2014 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/a14-17_ruxolitinib_nutzenbewertung-35a-sgb-v.pdf.
7. Statistisches Bundesamt. Bevölkerungsstand: Bevölkerungsstand im 4. Quartal 2023 leicht gestiegen [online]. 2024. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/aktuell-quartale.html>.
8. Schain F, Vago E, Song C et al. Survival outcomes in myelofibrosis patients treated with ruxolitinib: A population-based cohort study in Sweden and Norway. Eur J Haematol 2019; 103(6): 614-619. <https://doi.org/10.1111/ejh.13330>.
9. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung - Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand [online]. 2024. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_Januar_bis_Dezember_2024.pdf.

10. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Momelotinib (Myelofibrose); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V [online]. 2024 [Zugriff: 21.05.2024]. URL: <https://doi.org/10.60584/G24-04>.

11. 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); Momelotinib (Myelofibrose) [online]. 2024 [Zugriff: 08.05.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/40-268-10738/2024-08-15_AM-RL-XII_Momelotinib_D-1040_TrG.pdf.

12. 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); Momelotinib (Myelofibrose) [online]. 2024 [Zugriff: 08.05.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-6770/2024-08-15_AM-RL-XII_Momelotinib_D-1040_BAnz.pdf.