

Concizumab (Hämophilie A und B)

Addendum zu den Projekten A25-55 und A25-56
(Dossierbewertung)

A decorative horizontal bar spanning the width of the page, composed of 18 small squares in various shades of blue and grey. A larger, solid dark blue rectangle is overlaid on the bar, containing the text 'ADDENDUM (DOSSIERBEWERTUNG)'.

ADDENDUM (DOSSIERBEWERTUNG)

Projekt: G25-27

Version: 1.0

Stand: 26.09.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2096

DOI: 10.60584/G25-27

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Concizumab (Hämophilie A und B) – Addendum zu den Projekten A25-55 und A25-56

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

09.09.2025

Interne Projektnummer

G25-27

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-27>

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. Concizumab (Hämophilie A und B); Addendum zu den Projekten A25-55 und A25-56 (Dossierbewertung) [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-27>.

Schlagwörter

Concizumab, Hämophilie A, Hämophilie B, Adoleszent, Erwachsener

Keywords

Concizumab, Hemophilia A, Hemophilia B, Adolescent, Adult

An dem Addendum beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Anja Schwalm
- Tim Mathes
- Corinna ten Thoren

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
2 Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V	2
2.1 Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer in den Dossiers sowie in der Stellungnahme	2
2.2 Bewertung.....	2
3 Literatur	5

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Angaben des pU in Modul 3A (Hämophilie A) und 3B (Hämophilie B) der Dossiers sowie in seiner Stellungnahme inklusive nachgereichter Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer	4

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) am 09.09.2025 mit einer ergänzenden Bewertung zu den Projekten A25-55 und A25-56 (Concizumab – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V) [1,2] beauftragt.

Concizumab wird unter anderem zur Routineprophylaxe von Blutungen bei Patientinnen und Patienten mit Hämophilie A mit FVIII-Hemmkörpern bzw. Hämophilie B mit FIX-Hemmkörpern jeweils ab einem Alter von 12 Jahren angewendet [3]. Auf diese Anwendungsgebiete bezieht sich das vorliegende Addendum.

Im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens zur Bewertung von Concizumab wurden vom pharmazeutischen Unternehmer (pU) ergänzende Ausführungen zur Berechnung der Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen an den G-BA übermittelt, die über die Angaben im jeweiligen Dossier hinausgehen [4,5].

Der G-BA hat das IQWiG mit der Bewertung der im Stellungnahmeverfahren durch den pU zusätzlich vorgelegten Berechnungen und Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen beauftragt.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird dem G-BA übermittelt. Über den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V beschließt der G-BA.

2 Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

2.1 Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer in den Dossiers sowie in der Stellungnahme

In den Dossiers [4,5] liefert der pU Angaben zu den Studien NN7415-3813 (explorer1), NN7415-3981, NN7415-3986 (explorer2), NN7415-4159 (explorer3), NN7415-4255 (explorer5), NN7415-4310 (explorer4), NN7415-4311 (explorer7) und NN7415-4307 (explorer8). Der pU gibt für das jeweilige Anwendungsgebiete den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V jeweils mit 4,78 % an.

Zu diesen Angaben wurde in den Dossierbewertungen [1,2] u. a. angemerkt, dass sich für die Studie NN7415-4311 (explorer7) eine geringfügige Abweichung zwischen den Angaben des pU in Modul 3 bzw. den Angaben in den zur Verfügung gestellten SAS-Auszügen und den Angaben im Studienregister findet (im Studienregister sind 134 Patientinnen und Patienten angegeben). Darüber hinaus sind ein Teil der Patientinnen und Patienten der Studie NN7415-4311 (explorer7) nicht zu berücksichtigen, da sie an der Studie NN7415-4310 (explorer4) teilnahmen, und somit bereits in der Berechnung berücksichtigt wurden.

Zusätzliche Angaben des pU in der Stellungnahme

In seiner Stellungnahme [6] stimmt der pU den Ausführungen zu, dass Patientinnen und Patienten nicht doppelt gezählt werden dürften und weist ergänzend auf die Fußnoten der dem Dossier beigefügten SAS-Auszüge hin. Diesen lässt sich entnehmen, dass 21 Patientinnen und Patienten sowohl an der Studie NN7415-4311 (explorer7) als auch an der Studie NN7415-4310 (explorer4) teilgenommen haben. Weitere 16 Patientinnen und Patienten waren sowohl in der Studie NN7415-4307 (explorer8) als auch in der Studie NN7415-4255 (explorer5) eingeschlossen.

Der pU zieht die Summe dieser Patientinnen und Patienten (N = 37) von der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmenden über alle Prüfstellen (439) ab und berechnet somit eine Gesamtzahl über alle Prüfstellen von 402 Patientinnen und Patienten. Unter der Annahme von 21 Patientinnen und Patienten an deutschen Prüfstellen berechnet der pU einen Anteil der Prüfungsteilnehmenden an deutschen Prüfstellen von 5,2 %.

2.2 Bewertung

Bei der Neuberechnung des pU bleibt unklar, wie viele Prüfungsteilnehmende an deutschen Prüfstellen bereits an einer vorherigen Studie des pU teilgenommen haben. Bei denjenigen, die von der Studie NN7415-4310 (explorer4) in die Studie NN7415-4311 (explorer7) übergegangen sind, kann es sich nur um Patientinnen und Patienten handeln, die nicht an deutschen Prüfstellen behandelt wurden, da in der Studie NN7415-4310 (explorer4) keine

Patientinnen und Patienten an deutschen Prüfstellen behandelt wurden. Allerdings wurden in der Studie NN7415-4255 (explorer5) insgesamt 6 Patientinnen und Patienten an deutschen Prüfstellen behandelt. Hierbei ist unklar, ob von diesen auch Prüfungsteilnehmende an der nachfolgenden Studie NN7415-4307 (explorer8) teilgenommen haben und somit nicht doppelt zu berücksichtigen wären.

Ergänzend zur Stellungnahme reicht der pU im Anschluss an die mündliche Anhörung Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V in beiden Studien nach. Danach sind 3 Patientinnen und Patienten, die an deutschen Prüfstellen behandelt wurden, aus der Studie NN7415-4255 (explorer5) in die Studie NN7415-4307 (explorer8) übergegangen.

In der nachfolgenden Tabelle 1 sind die Angaben und Berechnungen zum Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, zum einen auf Basis der Angaben in Modul 3A (Hämophilie A) und 3B (Hämophilie B) der Dossiers dargestellt und zum anderen auf Basis der Angaben im Stellungnahmeverfahren inklusive der nachgereichten Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer. Der pU macht getrennte Angaben für die jeweiligen Anwendungsgebiete (Hämophilie A und Hämophilie B). Diese sind jedoch identisch, sodass nur 1 Tabelle dargestellt wird.

Tabelle 1: Angaben des pU in Modul 3A (Hämophilie A) und 3B (Hämophilie B) der Dossiers sowie in seiner Stellungnahme inklusive nachgereichter Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer

Studienname	Angaben in Modul 3A und 3B der Dossiers		Angaben in der Stellungnahme inklusive der nachgereichten Angaben	
	Anzahl der Prüfungsteilnehmenden über alle Prüfstellen	Anzahl der Prüfungsteilnehmenden an deutschen Prüfstellen	Anzahl der Prüfungsteilnehmenden über alle Prüfstellen	Anzahl der Prüfungsteilnehmenden an deutschen Prüfstellen
explorer1 (NN7415-3813)	52	4	52	4
NN7415-3981	8	0	8	0
explorer2 (NN7415-3986)	4	0	4	0
explorer3 (NN7415-4159)	24	4	24	4
explorer4 (NN7415-4310)	26	0	26	0
explorer5 (NN7415-4255)	36	6	36	6
explorer7 (NN7415-4311)	133	0	113	0
explorer8 (NN7415-4307)	156	7	140	4
Gesamt	439	21	403	18
Gesamt in %		4,78 %		4,47 %
Änderungen sind fett markiert. a. Angabe aus der Stellungnahme des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer				

Unter Berücksichtigung der Angaben in der Stellungnahme inklusive der nachgereichten Angaben ergibt sich für jedes Anwendungsgebiet jeweils ein Anteil der Prüfungsteilnehmenden an deutschen Prüfstellen von 4,47 %.

3 Literatur

1. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Concizumab (Hämophilie A); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: 04.08.2025]. URL: <https://doi.org/10.60584/A25-55>.
2. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Concizumab (Hämophilie B); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: 04.08.2025]. URL: <https://doi.org/10.60584/A25-56>.
3. Novo Nordisk. Alhemo [online]. 12.2024 [Zugriff: 16.05.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de/>.
4. Novo Nordisk Pharma. Concizumab (Alhemo); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2025 [Zugriff: 21.08.2025]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1210/#dossier>.
5. Novo Nordisk Pharma. Concizumab (Alhemo); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2025 [Zugriff: 19.08.2025]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1211/#dossier>.
6. Novo Nordisk Pharma. Stellungnahme zu den IQWiG-Berichten Nr. 2054 und Nr. 2056: Concizumab (Hämophilie); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung; Projekte A25-55 und A25-56. [Demnächst verfügbar unter <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1210/#beschluesse> bzw. <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1211/#beschluesse> im Dokument „Zusammenfassende Dokumentation“].