

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit (Hersteller & GKV-Spitzenverband)
Asfotase alfa – Strensiq® (17.03.2016)	Strensiq® ist indiziert als Langzeit-Enzymersatztherapie bei Patienten, bei denen die Hypophosphatasie im Kindes- und Jugendalter aufgetreten ist, um die Knochenmanifestationen der Krankheit zu behandeln.	a) Patienten im Alter ≤ 5 Jahren	Strensiq® ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens („Orphan Drug“). Der medizinische Zusatznutzen gilt durch die Zulassung als belegt.	Patienten im Alter ≤ 5 Jahren: Ausmaß des Zusatznutzens nicht quantifizierbar.	Erstattungsbetrag vereinbart
		b) Patienten im Alter > 5 Jahren		Patienten im Alter > 5 Jahren: Ausmaß des Zusatznutzens nicht quantifizierbar.	
Asfotase alfa – Strensiq® (02.04.2020)	Strensiq® ist indiziert als Langzeit-Enzymersatztherapie bei Patienten, bei denen die Hypophosphatasie im Kindes- und Jugendalter aufgetreten ist, um die Knochenmanifestationen der Krankheit zu behandeln.	a) Kleinkinder (≤ 5 Jahre) mit perinataler oder infantiler Hypophosphatasie (Krankheitsbeginn bis 6. Lebensmonat)	a) Best-Supportive Care	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen	
		b) Kleinkinder (≤ 5 Jahre) mit juveniler Hypophosphatasie (Krankheitsbeginn ab 6. Lebensmonat)	b) Best-Supportive Care	Zusatznutzen nicht belegt	
		c) Kinder (> 5 Jahre), Jugendliche und Erwachsene mit perinataler, infantiler oder juveniler Hypophosphatasie (Krankheitsbeginn bis 18 Jahre)	c) Best-Supportive Care	Zusatznutzen nicht belegt	

Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Asfotase alfa soll von einem in der Therapie von Patienten mit Stoffwechsel- oder Knochenerkrankungen erfahrenen Arzt erfolgen.“ Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über das Arzneimittel zu erlangen. Die EMA wird sämtliche neuen Informationen prüfen, die verfügbar gemacht werden, und die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels gegebenenfalls aktualisieren.

Als zusätzliche Maßnahme zur Risikominimierung ist Patienten und Betreuungspersonen vorgeschriebenes Schulungsmaterial zur Verfügung zu stellen, um eine Anleitung in der richtigen Anwendungstechnik von Asfotase alfa zu geben und um auf die Risiken von Medikationsfehlern und Reaktionen an der Injektionsstelle hinzuweisen. Das Schulungsmaterial soll folgende Informationen enthalten: Packungsbeilage, Anleitung zur Selbstinjektion für Patienten, Anleitung zur Injektion für Eltern oder Betreuungspersonen mit Kindern als Patienten.

In den Studien zu Asfotase alfa wurden nur Patienten bis 65 Jahre eingeschlossen. Insgesamt ist die Datenlage für erwachsene Patienten limitiert, daher werden Studien seitens der Zulassungsbehörden gefordert, um weitere Daten hinsichtlich der Dosierung bei Erwachsenen zu generieren.

Weiterhin wurden keine Patienten jünger als 5 Jahre mit juvenilem Beginn der Hypophosphatasie untersucht (Erkrankungsbeginn ≥ 6 Monate).

Hinweis

Haben Sie vor einer Verordnung Interesse oder Bedarf an Detail- und Hintergrundinformationen zu dem Verfahren oder dem Beschluss, so finden Sie diese über den folgenden Link beim G-BA im

G-BA: Frühe Nutzenbewertung <http://www.g-ba.de/informationen/nutzenbewertung/>

Geschäftsbereich Verordnungsmanagement

Telefon: 0231 9432-3941

E-Mail: verordnungsmanagement@kwvl.de

Zu Indikationen, Patientengruppen und Zielpopulationen werden nähere Angaben gemacht. Therapiekosten werden verglichen und detailliert dargestellt. Anforderungen für eine qualitätsgesicherte Anwendung könnten z. B. Beschränkungen bei der Verordnung auf Fachärzte oder bestimmte definierte Patientengruppen vorsehen.