

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit (Hersteller & GKV-Spitzenverband)
Atidarsagen autotemcel (04.11.2021)	Behandlung von metachromatischer Leukodystrophie (MLD), die durch Mutationen in beiden Allelen des Gens für die Arylsulfatase A (ARSA) gekennzeichnet ist, welche zu einer Verringerung der enzymatischen Aktivität von ARSA führt: bei Kindern mit im späten Säuglings- oder frühen Kindesalter auftretenden Formen, ohne klinische Manifestation der Erkrankung; bei Kindern mit der im frühen Kindesalter auftretenden Form mit frühzeitiger klinischer Manifestation der Erkrankung, die jedoch noch selbständig gehen können, vor dem Einsetzen einer kognitiven Verschlechterung.	Atidarsagen autotemcel (OTL-200) ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens („Orphan Drug“). Der med. Zusatznutzen gilt durch die Zulassung als belegt. Der G-BA bestimmt das Ausmaß des Zusatznutzens für die Anzahl der Pat. und Pat.-Gruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht.			
		a) Kinder mit im späten Säuglingsalter (Late Infantile (LI)) oder frühen Kindesalter (Early Juvenile (EJ)) auftretenden Formen der metachromatischen Leukodystrophie (MLD) ohne klinische Manifestation der Erkrankung	a) Anhaltspunkt für einen erheblichen Zusatznutzen		
		b) Kinder mit der EJ-Form der metachromatischen Leukodystrophie mit frühzeitiger klinischer Manifestation der Erkrankung, die jedoch noch selbstständig gehen können, vor dem Einsetzen einer kognitiven Verschlechterung	b) Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt		

Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:

Die Behandlung mit Atidarsagen autotemcel darf nur von ärztlichem Personal eingeleitet und überwacht werden, das über Erfahrung in der Transplantation von hämatopoetischen Stammzellen verfügt.

Libmeldy muss in einem qualifizierten Behandlungszentrum mit Erfahrung in der Transplantation hämatopoetischer Stammzellen (HSZT) verabreicht werden. Von den Patienten wird erwartet, dass sie an einer Studie zur Langzeitnachbeobachtung teilnehmen, um die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von Libmeldy besser erfassen zu können.

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.

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

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.