

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit (Hersteller & GKV-Spitzenverband)
<b>Betibeglogene autotemcel – Zynteglo®</b>  (14.05.2020)	Zynteglo® wird angewendet für die Behandlung von Patienten im Alter ab 12 Jahren mit transfusions-abhängiger $\beta$ -Thalassämie (TDT), die keinen $\beta^0/\beta^0$ -Genotyp haben, und die für eine hämatopoetische Stammzelltransplantation (HSZT) geeignet sind, für die aber kein humanes Leukozyten-Antigen (HLA)-kompatibler, verwandter HSZ-Spender zur Verfügung steht		Betibeglogene autotemcel 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.	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen	

**Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:**

Die Behandlung mit Zynteglo® darf gemäß Zulassung nur in qualifizierten Behandlungseinrichtungen erfolgen und von Ärzten eingeleitet und überwacht werden, die über Erfahrung in der Transplantation von hämatopoetischen Stammzellen und der Behandlung von Patienten mit transfusionsabhängiger  $\beta$ -Thalassämie verfügen.

Hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers behördlich genehmigtes Schulungsmaterial für medizinisches Fachpersonal und ein Informationspaket inklusive eines Patientenausweises für Patienten zur Verfügung zu stellen.

Gemäß deutscher FI wird von den Patienten erwartet, dass sie sich in ein Register aufnehmen lassen und innerhalb des Registers an einer Langzeit-Nachbeobachtung teilnehmen, um die langfristige Sicherheit und Wirksamkeit von Zynteglo® besser zu verstehen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die EMA wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

**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.