

| Wirkstoff / Fertigarzneimittel<br>(Beschluss in Kraft getreten am)           | Zugelassenes Anwendungsgebiet   | Indikation / Patientengruppe                             | Zweckmäßige Vergleichstherapie  | G-BA-Bewertung*             | Preisverhandlung/<br>Praxisbesonderheit<br>(Hersteller & GKV-<br>Spitzenverband) |
|--|---|--|---|-----------------------------|--|
| <b>Ivacaftor – Kalydeco™</b><br><br>(07.02.2013)<br><br>Zulassung 2012       | Ivacaftor (Kalydeco™) von Vertex Pharmaceuticals wird angewendet zur Behandlung der zystischen Fibrose bei Patienten im Alter von 6 Jahren oder älter mit einer G551D-Mutation im CFTR-Gen.   | Patientengruppe Kinder (6 bis 11 Jahre)                  | Ivacaftor ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens („Orphan Drug“). Der medizinische Zusatznutzen gilt durch die Zulassung als belegt. | Geringer Zusatznutzen       | Erstattungsbetrag vereinbart.  |
|  |   | Patientengruppe Jugendliche (ab 12 Jahre) und Erwachsene |   | Beträchtlicher Zusatznutzen |  |
| <b>Ivacaftor – Kalydeco®</b><br><br>(19.02.2015)<br><br>Zulassung 28.07.2014 | Neues Anwendungsgebiet (Kalydeco®) ist angezeigt zur Behandlung der zystischen Fibrose (CF, Mukoviszidose) bei Patienten ab 6 Jahren mit einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR Gen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.<br><br>Erweiterung des Anwendungsgebiets um die folgenden Gating-Mutationen G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251, S1255P, S549N und S549R  |  |   | Geringer Zusatznutzen       |  |
| <b>Ivacaftor – Kalydeco™</b><br><br>(02.06.2016)<br><br>Zulassung 16.11.2015 | 1) Kalydeco® ist angezeigt zur Behandlung von Kindern mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose) ab 2 Jahren mit einem Körpergewicht von weniger als 25 kg, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.<br><br>(Erweiterung des bisherigen Anwendungsgebiets um den Altersbereich ab 2 bis einschließlich 5 Jahren)<br><br>2) Kalydeco ist außerdem angezeigt zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose (CF) ab 18 Jahren, bei denen eine R117H-Mutation im CFTR-Gen vorliegt.<br><br>(Erweiterung des bisherigen Anwendungsgebiets um erwachsene Patienten mit einer R117H Mutation im CFTR Gen) |  | 1) Zusatznutzen nicht quantifizierbar<br><br>2) Geringer Zusatznutzen   |                             |  |

\* Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:

Die Behandlung sollte von CF-Einrichtungen initiiert und regelmäßig überwacht werden, die besondere Erfahrung in der Diagnostik und Behandlung von diesen Patienten haben.

#### Hinweis

Haben Sie vor einer Verordnung Interesse oder Bedarf an Detail- und Hintergrundinformationen zu dem Verfahren oder dem Beschluss, so finden Sie diese über die folgenden Links beim G-BA und im Arzneimittel-Informations-Service (AIS) der KBV.

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. Die KBV gibt einen zusammenfassenden Überblick zu jedem Beschluss des G-BA und die zugrunde liegenden Sachverhalte, beispielsweise bei der Bewertung berücksichtigte Studieninhalte.