

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung*	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit (Hersteller & GKV- Spitzenverband)
Ivacaftor – Kalydeco™ (07.02.2013) 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	
Ivacaftor – Kalydeco® (19.02.2015) 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. Erweiterung des Anwendungsgebiets um die folgenden Gating-Mutationen G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N und S549R			Geringer Zusatznutzen	
Ivacaftor – Kalydeco™ (02.06.2016) 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. (Erweiterung des bisherigen Anwendungsgebiets um den Altersbereich ab 2 bis einschließlich 5 Jahren) 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. (Erweiterung des bisherigen Anwendungsgebiets um erwachsene Patienten mit einer R117H Mutation im CFTR Gen)		1) Zusatznutzen nicht quantifizierbar 2) Geringer Zusatznutzen		

Beschlüsse am 20.02.20 aufgehoben

* 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.

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit <small>(Hersteller & GKV-Spitzenverband)</small>
<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neubewertung nach Überschreitung 50 Mio. € Grenze:</p> <p>Zystische Fibrose, Patienten von 2–5 Jahren</p>	<p>Ivacaftor wird angewendet zur Behandlung von Kindern mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose) ab 12 Monaten mit einem Körpergewicht zwischen 7 kg und weniger als 25 kg, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTRGen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.*</p> <p>Der vorliegende Beschluss bezieht sich ausschließlich auf das Anwendungsgebiet Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 2 bis 5 Jahren, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R</p>	<p>Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 2 bis 5 Jahren, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R:</p>	<p>Best-Supportive-Care Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen</p>	<p>Erstattungsbetrag vereinbart</p>

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neubewertung nach Überschreitung 50 Mio. € Grenze:</p> <p>Zystische Fibrose, Patienten ab 6 Jahren mit G551D-Mutation</p>	<p>Kalydeco®-Tabletten werden angewendet zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose) ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 25 kg, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R*</p> <p>Der vorliegende Beschluss bezieht sich ausschließlich auf das Anwendungsgebiet der zystischen Fibrose bei Patienten ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 25 kg, bei denen die Gating-Mutation G551D im CFTR-Gen vorliegt.</p>	a) Patienten mit zystischer Fibrose mit einer G511D-Mutation im CFTR-Gen im Alter von 6 bis 11 Jahren	a) Best-Supportive-Care. Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine best-mögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen
		b) Patienten mit zystischer Fibrose mit einer G511D-Mutation im CFTR-Gen ab 12 Jahren	b) Best-Supportive-Care. Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine best-mögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.	Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neubewertung nach Überschreitung 50 Mio. € Grenze:</p> <p>Zystische Fibrose, Patienten ab 6 Jahren, diverse Gating-Mutationen</p>	<p>Kalydeco®-Tabletten werden angewendet zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose) ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 25 kg, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R*</p> <p>Der vorliegende Beschluss bezieht sich ausschließlich auf das Anwendungsgebiet der zystischen Fibrose bei Patienten ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 25 kg, bei denen eine der folgenden Gating-Mutationen im CFTR-Gen vorliegt: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R (nicht G551D-Mutation).</p>	<p>Patienten mit zystischer Fibrose ab 6 Jahren, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R</p>	<p>Best-Supportive-Care. Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.</p>	
<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neubewertung nach Überschreitung 50 Mio. € Grenze:</p> <p>zystische Fibrose, Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor bei Patienten ab 12 Jahren (homozygot bzgl. F508del)</p>	<p>Kalydeco®-Tabletten werden ferner angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor 100 mg/Ivacaftor 150 mg-Tabletten zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose ab 12 Jahren, die homozygot für die F508del-Mutation sind.*</p>	<p>Lumacaftor/Ivacaftor</p>	<p>Zusatznutzen nicht belegt</p>		

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neubewertung eines Orphan-Drugs nach Überschreitung der 50 Mio. Euro Grenze:</p> <p>Patienten mit CF ab 18 Jahren, R117H-Mutation</p>	<p>Kalydeco® wird angewendet zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose (CF) ab 18 Jahren, bei denen eine R117H-Mutation im CFTR-Gen vorliegt*</p>		<p>Best-Supportive-Care Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i.S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen</p>	
<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neubewertung Überschreitung 50 Mio. € Grenze:</p> <p>zystische Fibrose, Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor bei Patienten ab 12 Jahren (heterozygot bzgl. F508del)</p>	<p>Kalydeco®-Tabletten werden ferner angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor 100 mg/Ivacaftor 150 mg-Tabletten zur Behandlung von Patienten mit zystischer Fibrose ab 12 Jahren, die heterozygot für die F508del-Mutation sind und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T.*</p>	<p>Patienten ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose, die heterozygot für die F508del-Mutation sind und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T</p>	<p>Best-Supportive-Care. Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Zusatznutzen nicht belegt</p>	

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.02.2020)</p> <p>Neues Anwendungsgebiet:</p> <p>Zystische Fibrose, Patienten 12 - < 24 Monate</p>	<p>Ivacaftor wird angewendet zur Behandlung von Kindern mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose) ab 12 Monaten mit einem Körpergewicht zwischen 7 kg und 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*</p> <p>Der vorliegende Beschluss bezieht sich ausschließlich auf das neu zugelassene Anwendungsgebiet vom 30. November 2019, d.h. auf Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 12 bis < 24 Monaten, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.</p>	<p>Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 12 bis < 24 Monaten, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R</p>	<p>Best-Supportive-Care Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen</p>	
---	--	--	---	--	--

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(04.06.2020)</p> <p>Neues Anwendungsgebiet:</p> <p>Zystische Fibrose, 6 bis < 12 Monate</p>	<p>Kalydeco®-Granulat wird angewendet zur Behandlung von Säuglingen ab 6 Monaten, Kleinkindern und Kindern mit einem Körpergewicht zwischen 5 kg und weniger als 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.*</p> <p>Der vorliegende Beschluss bezieht sich ausschließlich auf das neu zugelassene Anwendungsgebiet, d.h. auf Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 6 bis < 12 Monaten, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.</p>	<p>Kinder mit zystischer Fibrose im Alter von 6 bis < 12 Monaten, die eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R</p>	<p>Best-Supportive-Care</p> <p>Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen</p>	
--	---	---	--	--	--

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(17.12.2020)</p> <p>neues Anwendungsgebiet: Zystische Fibrose, Patienten ≥ 6 Monate - < 18 Jahre (R117H)</p>	<p>Kalydeco-Granulat wird angewendet zur Behandlung von Säuglingen ab 6 Monaten, Kleinkindern und Kindern mit einem Körpergewicht zwischen 5 kg und weniger als 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine R117H-CFTR-Mutation oder eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.</p> <p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet zur Behandlung von Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine R117H-CFTR-Mutation oder eine der folgenden Gating Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S,</p>	<p>Kalydeco wird angewendet zur Behandlung von Patienten ab 6 Monaten bis < 18 Jahre mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine R117H-CFTR-Mutation aufweisen:</p> <p>a) Patienten ab 6 Monaten bis < 6 Jahren mit zystischer Fibrose, die eine R117H-Mutation im CFTR-Gen aufweisen:</p>	<p>a) Best Supportive Care</p> <p>Als Best Supportive Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine Best-mögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i.S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen</p>	
---	---	---	---	--	--

	S1251N, S1255P, S549N oder S549R.*	b) Patienten ab 6 Jahren bis < 18 Jahren mit zystischer Fibrose, die eine R117H-Mutation im CFTR-Gen aufweisen:	b) Best Supportive Care Als Best Supportive Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patienten-individuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i.S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet.	Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen	
Ivacaftor – Kalydeco® (18.02.2021) neues Anwendungsgebiet: Zystische Fibrose, Kombinationstherapie mit Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor bei Patienten ab 12 Jahren (heterozygot bzgl. F508del- und MFMutation)	Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor 75 mg/Tezacaftor 50 mg/Elexacaftor 100 mg-Tabletten zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die homozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen sind oder heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen und eine Minimalfunktions (MF)-Mutation aufweisen.*	Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor 75 mg/Tezacaftor 50 mg/Elexacaftor 100 mg-Tabletten zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen und eine Minimalfunktions (MF)-Mutation aufweisen.	Best Supportive Care	Anhaltspunkt für einen erheblichen Zusatznutzen	

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(18.02.2021)</p> <p>Neues Anwendungsgebiet:</p> <p>Zystische Fibrose, Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor bei Patienten ab 12 Jahren (homozygot bzgl. F508del-Mutation)</p>	<p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor 75 mg/Tezacaftor 50 mg/Elexacaftor 100 mg-Tabletten zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die homozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) sind oder heterozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen und eine Minimalfunktions (MF)-Mutation aufweisen.*</p>	<p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Ivacaftor 75 mg/Tezacaftor 50 mg/Elexacaftor 100 mg-Tabletten zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die homozygot für die F508del-Mutation im CFTR-Gen (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator) sind.</p>	<p>Lumacaftor/Ivacaftor oder Tezacaftor/Ivacaftor in Kombination mit Ivacaftor</p>	<p>Hinweis für einen erheblichen Zusatznutzen</p>	
<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.05.2021)</p> <p>Neues Anwendungsgebiet:</p> <p>zystische Fibrose, Kombinationstherapie mit Tezacaftor/Ivacaftor bei Patienten ab 6 bis < 12 Jahren (homozygot bzgl. F508del-Mutation)</p>	<p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor-Tabletten zur Behandlung von Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern ab 6 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die homozygot für die F508del-Mutation sind oder heterozygot für die F508del-Mutation und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T.*</p>	<p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor-Tabletten zur Behandlung von Kindern ab 6 Jahren bis < 12 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die homozygot für die F508del-Mutation sind.</p>	<p>Lumacaftor/Ivacaftor</p>	<p>Zusatznutzen nicht belegt</p>	

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.05.2021)</p> <p>Neues Anwendungsgebiet:</p> <p>zystische Fibrose, Kombinationstherapie mit Tezacaftor/Ivacaftor bei Patienten ab 6 bis < 12 Jahren (heterozygot bzgl. F508del- und RF-Mutation)</p>	<p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor-Tabletten zur Behandlung von Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern ab 6 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die homozygot für die F508del-Mutation sind oder heterozygot für die F508del-Mutation und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T.*</p>	<p>Kalydeco-Tabletten werden angewendet im Rahmen einer Kombinationsbehandlung mit Tezacaftor/Ivacaftor-Tabletten zur Behandlung von Kindern ab 6 Jahren bis < 12 Jahren mit zystischer Fibrose (CF), die heterozygot für die F508del-Mutation sind und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, F508del-Mutation sind und eine der folgenden Mutationen im CFTR-Gen aufweisen: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G und 3849+10kbC→T.</p>	<p>Best-Supportive-Care</p> <p>Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine best-mögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet</p>	<p>Zusatznutzen nicht belegt</p>	
<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.05.2021)</p> <p>neues Anwendungsgebiet:</p> <p>zystische Fibrose, Patienten ab 4 bis < 6 Monate, Gating-Mutationen</p>	<p>Kalydeco-Granulat wird angewendet zur Behandlung von Säuglingen ab 4 Monaten, Kleinkindern und Kindern mit einem Körpergewicht zwischen 5 kg und weniger als 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine R117H-CFTR-Mutation oder eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.*</p>	<p>Kalydeco-Granulat wird angewendet zur Behandlung von Säuglingen ab 4 bis < 6 Monaten, die einer der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.</p>	<p>- Best-Supportive-Care</p> <p>Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine best-mögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der HeilmittelRL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen</p>	

<p>Ivacaftor – Kalydeco®</p> <p>(20.05.2021)</p> <p>neues Anwendungsgebiet:</p> <p>zystische Fibrose, Patienten ab 4 bis < 6 Monate, R117H-Mutation</p>	<p>Kalydeco-Granulat wird angewendet zur Behandlung von Säuglingen ab 4 Monaten, Kleinkindern und Kindern mit einem Körpergewicht zwischen 5 kg und weniger als 25 kg mit zystischer Fibrose (CF, Mukoviszidose), die eine R117H-CFTR-Mutation oder eine der folgenden Gating-Mutationen (Klasse III) im CFTR-Gen aufweisen: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N oder S549R.*</p>	<p>Kalydeco-Granulat wird angewendet zur Behandlung von Säuglingen mit zystischer Fibrose im Alter von 4 bis < 6 Monaten, die eine R117H-Mutation im CFTR-Gen aufweisen.</p>	<p>– Best-Supportive-Care</p> <p>Als Best-Supportive-Care (BSC) wird diejenige Therapie verstanden, die eine best-mögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität (insbesondere Antibiotika bei pulmonalen Infektionen, Mukolytika, Pankreasenzyme bei Pankreasinsuffizienz, Physiotherapie (i. S. der Heilmittel-RL), unter Ausschöpfung aller möglicher diätetischer Maßnahmen) gewährleistet</p>	<p>Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen</p>	
--	--	---	--	--	--

Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:

* Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Ivacaftor soll nur durch in der Therapie von Patienten mit zystischer Fibrose erfahrene Ärzte erfolgen.

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.