

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit (Hersteller & GKV-Spitzenverband)
<b>Sebelipase alfa – KANUMA®</b>  (17.03.2016)  <b>Beschluss aufgehoben</b>  (03.06.2021)	KANUMA wird angewendet zur langfristigen Enzyersatztherapie (EET) bei Patienten aller Altersgruppen mit einem Mangel an lysosomaler saurer Lipase (LAL-Mangel).	a) Patienten mit bereits im Säuglingsalter (< 6 Monate) rasch fortschreitendem LAL-Mangel	KANUMA® ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens („Orphan Drug“).  Der medizinische Zusatznutzen gilt durch die Zulassung als belegt.	a) Ausmaß des Zusatznutzens nicht quantifizierbar	Erstattungsbetrag vereinbart
		b) Patienten mit LAL-Mangel (nicht bereits im Säuglingsalter (< 6 Monate) rasch fortschreitend)		b) Ausmaß des Zusatznutzens nicht quantifizierbar	
<b>Sebelipase alfa – KANUMA®</b>  (03.06.2021)  Neubewertung nach Fristablauf	KANUMA wird angewendet zur langfristigen Enzyersatztherapie (EET) bei Patienten aller Altersgruppen mit einem Mangel an lysosomaler saurer Lipase (LAL-Mangel).	a) Patienten mit bereits im Säuglingsalter (< 6 Monate) rasch fortschreitendem LAL-Mangel	Kanuma 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, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.	
		b) Patienten mit LAL-Mangel (nicht bereits im Säuglingsalter (< 6 Monate) rasch fortschreitend)		Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.	

**Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:**

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Sebelipase alfa soll nur durch in der Therapie von Patienten mit LAL-Mangel, anderen Stoffwechselerkrankungen oder chronischen Lebererkrankungen erfahrene Fachärzte 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.