

Wirkstoff / Fertigarzneimittel (Beschluss in Kraft getreten am)	Zugelassenes Anwendungsgebiet	Indikation / Patientengruppe	Zweckmäßige Vergleichstherapie	G-BA-Bewertung	Preisverhandlung/ Praxisbesonderheit (Hersteller & GKV-Spitzenverband)
Volanesorsen – Waylivra® (20.02.2020)	Die Anwendung von Waylivra ist angezeigt für die unterstützende Behandlung neben einer Diät bei erwachsenen Patienten mit genetisch bestätigter Familiäres Chylomikronämie Syndrom (FCS) und einem hohen Risiko für Pankreatitis, bei denen das Ansprechen auf eine Diät und eine triglyceridsenkende Therapie unzureichend war		Volanesorsen 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.	

Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung:

Die Behandlung mit Volanesorsen darf nur von Ärztinnen und Ärzten eingeleitet und überwacht werden, die über Erfahrung in der Behandlung von Patienten mit familiärem Chylomikronämie-Syndrom (FCS) verfügen.

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.

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers behördlich genehmigtes Schulungsmaterial für medizinisches Fachpersonal inklusive eines Informationspaketes für Patienten zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält insbesondere relevante Informationen zur Thrombozytopenie und zu schweren Blutungen, sowie Empfehlungen zur Überwachung der Thrombozyten, einschließlich Empfehlungen zur Dosisanpassung vor und während der Behandlung.

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.