

## 2 Nutzenbewertung

### 2.1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

#### Hintergrund

Der G-BA hat das IQWiG mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Hydrocortison gemäß § 35a SGB V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pU. Das Dossier wurde dem IQWiG am 02.05.2018 übermittelt.

#### Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Hydrocortison im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Neugeborenen, Kindern und Jugendlichen (von der Geburt bis < 18 Jahre) mit Nebenniereninsuffizienz.

Gemäß der Festlegung des G-BA zur zweckmäßigen Vergleichstherapie ergibt sich die in Tabelle 2 dargestellte Fragestellung für die Nutzenbewertung.

Tabelle 2: Fragestellungen der Nutzenbewertung von Hydrocortison (Alkindi)

Fragestellung	Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie <sup>a</sup>
1	Nebenniereninsuffizienz bei Neugeborenen, Kindern und Jugendlichen (von der Geburt bis < 18 Jahre)	Hydrocortison
a: Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss		

Das im vorliegenden Bericht zu bewertende Arzneimittel Hydrocortison mit dem Handelsnamen Alkindi – wird im Folgenden als Hydrocortison (Alkindi) bezeichnet – ist ausschließlich für die pädiatrische Anwendung (Paediatric-use Marketing Authorisation [PUMA]) zugelassen. Der G-BA hat als zweckmäßige Vergleichstherapie ebenfalls den Wirkstoff Hydrocortison festgelegt. Die zweckmäßige Vergleichstherapie wird deshalb im Folgenden als Hydrocortison (nicht Alkindi) bezeichnet.

Der pU folgt bei der Wahl der zweckmäßigen Vergleichstherapie der Festlegung des G-BA.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen.

#### Ergebnisse

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Hydrocortison (Alkindi) liegen keine RCTs vor. Der pU legt die 2 einarmigen Studien Infacort 003 und Infacort 004 vor. In die Studie Infacort 003 wurden 24 Kinder < 6 Jahre mit Nebenniereninsuffizienz eingeschlossen und 1-malig mit Hydrocortison (Alkindi) behandelt. Die Studie Infacort 004 ist eine Folgestudie von Infacort 003. In der Studie Infacort 004 wird die Behandlung mit Hydrocortison (Alkindi) bei 18 der 24 Kinder fortgesetzt. Die Studie ist noch laufend.

Zur Vergleichstherapie Hydrocortison (nicht Alkindi) führt der pU eine systematische Recherche durch, stellt jedoch die identifizierte Evidenz nicht dar, da er insgesamt auf die Durchführung eines Vergleichs verzichtet.

Die vom pU vorgelegten Daten erlauben keine Abwägung des Nutzens und des Schadens von Hydrocortison (Alkindi) im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie und sind daher für die Bewertung des Zusatznutzens nicht geeignet.

### **Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen**

Tabelle 3 zeigt eine Zusammenfassung von Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens von Hydrocortison.

Tabelle 3: Hydrocortison (Alkindi) – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

<b>Indikation</b>	<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie<sup>a</sup></b>	<b>Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens</b>
Nebenniereninsuffizienz bei Neugeborenen, Kindern und Jugendlichen (von der Geburt bis < 18 Jahre)	Hydrocortison	Zusatznutzen nicht belegt
a: Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.