

## 2 Nutzenbewertung

### 2.1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

#### Hintergrund

Der G-BA hat das IQWiG mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Lonoctocog alfa gemäß § 35a SGB V beauftragt. Die Bewertung erfolgte auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 01.02.2017 übermittelt.

#### Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Lonoctocog alfa im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bei der Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel).

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

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Lonoctocog alfa

Fragestellung	Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie <sup>a</sup>
1	Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Patienten mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel)	<b>Rekombinante</b> oder aus <b>humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate</b>
a: Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. In den Fällen, in denen der pU aufgrund der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch den G-BA aus mehreren Alternativen eine Vergleichstherapie auswählen kann, ist die entsprechende Auswahl des pU <b>fett</b> markiert. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer		

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die prophylaktische Behandlung gilt eine Mindeststudiendauer von 6 Monaten. Für die Beurteilung der anlassbezogenen Behandlung ist eine Studiendauer von mindestens 50 Expositionstagen zu gewährleisten.

#### Ergebnisse

Der pU legt keine geeigneten Daten zur Bewertung des Zusatznutzens von Lonoctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vor.

#### Direkter Vergleich

Aus seiner Informationsbeschaffung identifizierte der pU keine randomisierte oder nicht randomisierte direkt vergleichende Studie zum Vergleich von Lonoctocog alfa mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie, weder zur Prophylaxe noch zur anlassbezogenen Behandlung.

### **Weitere Untersuchungen**

Der pU identifizierte für Lonoctocog alfa 2 einarmige Studien. Beide Studien untersuchten die Wirksamkeit und Sicherheit von Lonoctocog alfa bei vorbehandelten Patienten mit schwerer Hämophilie A unterschiedlicher Altersgruppen. In beiden Studien erfolgte zu Beginn eine Untersuchung der Pharmakokinetik. Daran schloss sich eine Behandlungsperiode mit Lonoctocog alfa in unterschiedlichen Behandlungsregimen (Prophylaxe bzw. anlassbezogene Behandlung) sowie eine Extensionsphase an, sodass die eingeschlossenen Patienten bis zu 24 Monate behandelt wurden.

Beide Studien sind zur Ableitung eines Zusatznutzens nicht geeignet, da sie als einarmige Studien keinen Vergleich gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ermöglichen. Der pU hat seine Kriterien zum Einschluss von Studien auch gar nicht auf eine vollständige Beantwortung der Fragestellung zum Zusatznutzen ausgelegt, da er keine Studien zur zweckmäßigen Vergleichstherapie gesucht hat.

### **Zusammenfassung**

Insgesamt legt der pU keine geeigneten Daten für die Bewertung des Zusatznutzens von Lonoctocog alfa vor. Es gibt daher keinen Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Lonoctocog alfa gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit nicht belegt.

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

Auf Basis der dargestellten Ergebnisse werden die Wahrscheinlichkeit und das Ausmaß des Zusatznutzens des Wirkstoffs Lonoctocog alfa im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie wie folgt bewertet:

Tabelle 3: Lonoctocog alfa – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

<b>Indikation</b>	<b>Zweckmäßige Vergleichstherapie<sup>a</sup></b>	<b>Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens</b>
Therapie und Prophylaxe von Blutungen bei Kindern und Erwachsenen mit Hämophilie A (angeborener Faktor-VIII-Mangel)	<b>Rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-VIII-Präparate</b>	Zusatznutzen nicht belegt
a: Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. In den Fällen, in denen der pU aufgrund der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch den G-BA aus mehreren Alternativen eine Vergleichstherapie auswählen kann, ist die entsprechende Auswahl des pU <b>fett</b> markiert. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; pU: pharmazeutischer Unternehmer		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.