



IQWiG-Berichte – Nr. 1084

**Afamelanotid  
(erythropoetische  
Protoporphyrinurie) –**

**Bewertung gemäß  
§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V  
(Ablauf Befristung)**

**Dossierbewertung**

Auftrag: G21-01  
Version: 1.0  
Stand: 25.03.2021

# Impressum

## Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

## Thema

Afamelanotid (erythroetische Protoporphyrin) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11  
SGB V

## Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

## Datum des Auftrags

04.01.2021

## Interne Auftragsnummer

G21-01

## Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen  
Im Mediapark 8  
50670 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: [berichte@iqwig.de](mailto:berichte@iqwig.de)

Internet: [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de)

ISSN: 1864-2500

### **Medizinisch-fachliche Beratung**

- Markus Böhm, Universitätsklinikum Münster, Münster

Das IQWiG dankt dem medizinisch-fachlichen Berater für seinen Beitrag zur Dossierbewertung. Der Berater war jedoch nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

### **An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG**

- Nadia Abu Rajab
- Eva Höfer
- Sarah Mostardt

**Schlagwörter:** Afamelanotid, Protoporphyrin erythroetica, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

**Keywords:** Afamelanotide, Protoporphyrin – Erythropoietic, Health Care Costs, Epidemiology

# Inhaltsverzeichnis

	Seite
<b>Tabellenverzeichnis</b> .....	<b>iv</b>
<b>Abkürzungsverzeichnis</b> .....	<b>v</b>
<b>1 Hintergrund</b> .....	<b>1</b>
<b>1.1 Verlauf des Projekts</b> .....	<b>1</b>
<b>1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs</b> .....	<b>2</b>
<b>2 Nutzenbewertung</b> .....	<b>3</b>
<b>3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie</b> .....	<b>4</b>
<b>3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)</b> .....	<b>4</b>
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation .....	4
<b>3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)</b> .....	<b>5</b>
3.2.1 Behandlungsdauer .....	5
3.2.2 Verbrauch .....	6
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels .....	6
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	6
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	6
3.2.6 Versorgungsanteile .....	7
<b>4 Zusammenfassung der Dossierbewertung</b> .....	<b>8</b>
<b>4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete</b> .....	<b>8</b>
<b>4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie</b> .....	<b>8</b>
<b>4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen</b> .....	<b>8</b>
<b>4.4 Kosten der Therapie für die GKV</b> .....	<b>9</b>
<b>4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung</b> .....	<b>10</b>
<b>5 Literatur</b> .....	<b>11</b>
<b>Anhang A – Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen</b> .....	<b>12</b>

## Tabellenverzeichnis

	<b>Seite</b>
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	8
Tabelle 2: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr .....	9

**Abkürzungsverzeichnis**

<b>Abkürzung</b>	<b>Bedeutung</b>
AM-NutzenV	Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung
ASV	ambulante spezialfachärztliche Versorgung
EMA	European Medicines Agency (Europäische Arzneimittel-Agentur)
EPAR	European public Assessment Report
EPP	erythroetische Protoporphyrin
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
VerfO	Verfahrensordnung

## 1 Hintergrund

Afamelanotid ist ein Arzneimittel zur Prävention von Fototoxizität bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit erythroetischer Protoporphyrurie (EPP). Afamelanotid ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen<sup>1</sup> ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels innerhalb der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) binnen 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vorgelegt zu werden.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

- zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und
- zu den Kosten der Therapie für die GKV

zu bewerten.

### 1.1 Verlauf des Projekts

Der pU hat für den zu bewertenden Wirkstoff erstmalig zum 09.02.2016 ein Dossier zur frühen Nutzenbewertung vorgelegt. In diesem Verfahren sprach der G-BA mit Beschluss vom 04.08.2016 eine Befristung des Beschlusses bis zum 01.01.2021 aus. Gemäß § 3 Nr. 5 Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) in Verbindung mit 5. Kapitel § 1 Abs. 2 Nr. 6 Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA beginnt das Verfahren der Nutzenbewertung für das Arzneimittel Afamelanotid erneut, wenn diese Frist abgelaufen ist. Hierzu hat der pU spätestens am Tag des Fristablaufs beim G-BA ein Dossier einzureichen (§ 4 Abs. 3 Nr. 5 AM-NutzenV in Verbindung mit 5. Kapitel § 8 Nr. 5 VerfO).

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG.

Die vorliegende Bewertung wurde unter Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung umfasst die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patientinnen und Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis. Darüber hinaus konnte eine Einbindung im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen erfolgen. Alle

---

<sup>1</sup> nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pU.

Bei der Kommentierung der Angaben im Dossier des pU werden die Anforderungen berücksichtigt, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossievorlagen beschrieben sind (siehe VerFO des G-BA [1]).

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

## **1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs**

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA ([www.g-ba.de](http://www.g-ba.de)).



## **2 Nutzenbewertung**

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Aus diesem Grund ist die Bewertung des Zusatznutzens nicht Gegenstand dieses Berichts.

### **3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie**

#### **3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)**

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

##### **3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation**

Die Erkrankung EPP stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert er entsprechend den Ausführungen zum Anwendungsgebiet in Anhang 1 der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels des European public Assessment Reports (EPAR) der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) [2]. Demnach wird Afamelanotid angewendet zur Prävention von Fototoxizität bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit EPP.

Der pU charakterisiert die Zielpopulation weiterhin als diejenigen Patientinnen und Patienten, bei denen keine Gegenanzeigen vorliegen. Diese Einschränkung ist nachvollziehbar.

##### **3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation**

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation auf Basis einer Studie von Holme et al. (2006) mit EPP-Erkrankten aus Großbritannien [3]. Demnach lag die Prävalenz von Patientinnen und Patienten mit EPP in dieser Studie bei 1:150 000. Der pU stützt sich zusätzlich auf den Assessment Report zu Afamelanotid der EMA aus dem Jahr 2014 [4], der ebenfalls auf die Prävalenzangabe aus der Studie von Holme et al. (2006) verweist. Der pU überträgt zunächst die hierin enthaltene Schätzung der Prävalenzrate für Großbritannien auf die deutsche Gesamtbevölkerung (Stand 30.06.2020) [5] und ermittelt eine Anzahl von 554 Patientinnen und Patienten mit EPP. Ausgehend von einer Schätzung des Anteils der Kinder und Jugendlichen an der Gesamtbevölkerung Deutschlands, die laut pU auf Angaben der Bevölkerungsfortschreibung des Statistischen Bundesamts für das Jahr 2011 basiert, legt er den Anteil von 82,5 % Erwachsenen zugrunde. Er überträgt diesen Anteilswert auf die geschätzte Prävalenz und errechnet eine Anzahl von 457 erwachsenen Patientinnen und Patienten mit EPP in Deutschland im Jahr 2020. Unter der weiteren Annahme des pU, dass ca. 90 % der Bevölkerung gesetzlich versichert sind [6], ergibt sich eine Anzahl von 411 erwachsenen Patientinnen und Patienten mit EPP.

##### **Bewertung des Vorgehens des pU**

Insgesamt ist die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation in der Größenordnung plausibel. Anzumerken ist jedoch, dass sich die herangezogene Quelle nicht auf den deutschen Versorgungskontext und auf einen Zeitpunkt vor 2006 bezieht. Zusätzlich ist darauf hinzuweisen, dass in der Studie von Holme et al. (2006) ältere Personen über 70 Jahre berücksichtigt wurden, bei denen eine Behandlung mit

Afamelanotid nicht empfohlen wird bzw. nur dann angezeigt ist, wenn eine entsprechende Überwachung gewährleistet wird [4].

Der pU legt zusätzlich Angaben zur Anzahl der tatsächlich mit Afamelanotid behandelten Patientinnen und Patienten in Deutschland sowie der in der Schweiz behandelten deutschen Patientinnen und Patienten in dem Zeitraum von 2017 bis 2020 vor. Unter Berücksichtigung eines GKV-Anteils von ca. 90 %, weist er für das Jahr 2020 insgesamt eine Anzahl von 157 mit Afamelanotid behandelten Patientinnen und Patienten aus. Allerdings werden hierbei nur tatsächlich diagnostizierte und behandelte Fälle in Betracht gezogen. Zum einen bleiben diejenigen unberücksichtigt, bei denen eine EPP diagnostiziert wurde, die aber aufgrund mangelnder Behandlungsangebote keine Therapie erhalten haben oder auf einer Warteliste der Behandlungszentren stehen. Zum anderen bleiben diejenigen Patientinnen und Patienten unberücksichtigt, bei denen es aufgrund der Seltenheit der Erkrankung zu einer möglicherweise späten Diagnosestellung kommt [3].

### **Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten**

Der pU geht davon aus, dass keine wesentlichen Änderungen der Inzidenz und Prävalenz in den nächsten 5 Jahren zu erwarten sind.

## **3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)**

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

### **3.2.1 Behandlungsdauer**

Die Angabe des pU zur Behandlungsdauer von Afamelanotid entspricht nur zum Teil den Ausführungen zur Dosierung in Anhang 1 der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels des EPAR der EMA [2]. Der pU setzt 4 Behandlungstage pro Jahr an. Aus dem erwähnten EPAR-Dokument stellt dies jedoch die empfohlene Maximalzahl an Behandlungen und damit die Obergrenze der Behandlungstage pro Jahr dar. Aus dem EPAR-Dokument lässt sich ferner entnehmen, dass 3 Implantate pro Jahr je nach Dauer des erforderlichen Schutzes empfohlen werden. Die Behandlungstage können demnach auch geringer sein, als vom pU ausgewiesen. Unter Berücksichtigung dieser Angaben ergibt sich eine Spanne von 3 bis 4 Behandlungstagen pro Jahr.

Dem EPAR-Dokument ist zu entnehmen, dass die Gesamtbehandlungsdauer im Ermessen der spezialisierten Ärztin bzw. des spezialisierten Arztes liegt [2]. Da in dem EPAR-Dokument keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert ist, wird dafür in der vorliegenden Bewertung rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Therapiedauer patientenindividuell unterschiedlich ist. Dies entspricht dem Vorgehen des pU.

### **3.2.2 Verbrauch**

Die Angabe des pU zum Verbrauch entspricht nur zum Teil dem EPAR-Dokument [2]. Der pU setzt für den Verbrauch insgesamt 4 Implantate pro Jahr an. Wie bereits in Abschnitt 3.2.1 thematisiert, handelt es sich dabei um den empfohlenen Maximalverbrauch pro Jahr. Der Verbrauch kann demnach auch geringer sein als vom pU ausgewiesen. Unter Berücksichtigung der Angaben aus dem EPAR-Dokument ergibt sich ein Verbrauch von 3 bis 4 Implantaten pro Jahr.

### **3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels**

Der pU gibt das Datum der Abfrage in der Lauer-Taxe nicht an. Bei Abfrage von Afamelanotid zum 01.01.2021 lassen sich die vom pU angegebenen Kosten des Klinikverkaufspreises entnehmen. Die Mehrwertsteuer berücksichtigt der pU nicht.

Der Apothekenverkaufspreis inklusive Mehrwertsteuer ist der Lauer-Taxe zum 01.01.2021 ebenfalls zu entnehmen. Unter Zugrundelegung des Apothekenverkaufspreises ergeben sich nach Abzug der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte deutlich höhere Arzneimittelkosten pro Implantat, als vom pU ausgewiesen.

### **3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen**

Für die Implantation von Afamelanotid rechnet der pU mit der Abrechnung von Behandlungspauschalen gemäß den Vergütungen zur ambulanten spezialärztlichen Versorgung (ASV) ohne die genaue Gebührenposition zu benennen oder die Höhe der Pauschalen zu beziffern. Er schätzt die Häufigkeit der Behandlung mit dem Wirkstoff abhängig von der Anzahl der Überweisungsscheine auf etwa 2- bis 4-mal pro Jahr. Er begründet dies damit, dass die Versorgung mit Afamelanotid ambulant im Krankenhaus stattfindet und die Krankenhäuser je Überweisungsschein eine ASV-Pauschale abrechnen. Detaillierte Kostenangaben liefert der pU hierzu nicht.

Aus dem EPAR-Dokument ist zu entnehmen, dass pro Jahr 2 Ganzkörperuntersuchungen der Haut durchgeführt werden sollten [2]. Dies wird laut pU je Überweisungsschein mit der Pauschale abgegolten.

### **3.2.5 Jahrestherapiekosten**

Der pU ermittelt für Afamelanotid Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient auf Basis des Klinikverkaufspreises in Höhe von 56 403,80 €, ohne Berücksichtigung der Mehrwertsteuer. Die vom pU ausgewiesenen Jahrestherapiekosten beinhalten ausschließlich Arzneimittelkosten. Zwar gibt der pU an, dass zusätzlich notwendige GKV-Leistungen anfallen, weist hierfür jedoch keine Kosten aus.

Unter Berücksichtigung einer Spanne von 3 bis 4 Implantaten pro Jahr sowie unter Zugrundelegung des Apothekenverkaufspreises (inklusive Mehrwertsteuer) und der gesetzlich

vorgeschriebenen Rabatte, ergeben sich deutlich abweichende Jahrestherapiekosten als vom pU ausgewiesen.

### **3.2.6 Versorgungsanteile**

Der pU gibt an, dass für die Prävention oder die Behandlung von EPP keine weiteren Arzneimittel zugelassen sind und geht daher von einem Versorgungsanteil von 100 % aus. Die Anzahl der derzeit tatsächlich behandelten Patientinnen und Patienten weicht laut pU von der Angabe der Zielpopulation (siehe Abschnitt 3.1.2) ab, da die Kapazität der Behandlungszentren begrenzt wäre, Patientinnen und Patienten auf Wartelisten stünden und demnach in einigen Fällen nicht behandelt würden. Außerdem würden sich einige Patientinnen und Patienten aus Süddeutschland in der Schweiz behandeln lassen. Zusätzlich macht der pU Angaben zu Kontraindikationen sowie Therapieabbrüchen und gibt an, dass die Behandlung ambulant in anerkannten Porphyriezentren erfolgt.

## 4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

### 4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Afamelanotid wird angewendet zur Prävention von Fototoxizität bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit erythroetischer Protoporphyrin.

### 4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

### 4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten <sup>a</sup>	Kommentar
Afamelanotid	erwachsene Patientinnen und Patienten mit EPP	411	Die vom pU angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist in der Größenordnung plausibel.
a. Angabe des pU EPP: erythroetische Protoporphyrin; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

#### 4.4 Kosten der Therapie für die GKV

Tabelle 2: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € <sup>a</sup>	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € <sup>a</sup>	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € <sup>a</sup>	Jahres-therapiekosten in € <sup>a</sup>	Kommentar
Afamelanotid	erwachsene Patientinnen und Patienten mit EPP	56 403,80 <sup>b</sup>	+ Pauschale „ambulant spezialfachärztliche Versorgung“ <sup>c</sup>	k. A.	56 403,80 <sup>b</sup>	Die Angaben des pU basieren auf dem Maximalverbrauch von 4 Implantaten pro Jahr. Wird stattdessen eine Dosisspanne der empfohlenen Implantate gemäß EPAR-Dokument (3 bis 4 Implantate pro Jahr) sowie der Apothekenverkaufspreis abzüglich der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte berücksichtigt, so ergeben sich deutlich abweichende Jahrestherapiekosten.  Der pU gibt an, dass Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen entstehen, quantifiziert diese jedoch nicht.
<p>a. Angabe des pU  b. Die Angabe beinhaltet den Klinikverkaufspreis und enthält keine Mehrwertsteuer.  c. In Modul 3 A liegen keine Angaben zu den Kosten der Pauschale vor.</p> <p>EPAR: European public Assessment Report; EPP: erythroetische Protoporphyrin; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; k. A.: keine Angabe; pU: pharmazeutischer Unternehmer</p>						

#### **4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung**

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Der entsprechende Auftrag des G-BA an das IQWiG beschränkt sich darauf, das Dossier des pU allein im Hinblick auf die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und zu den Kosten der Therapie für die GKV zu bewerten. Die Angaben des pU zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung bleiben daher in der vorliegenden Dossierbewertung unberücksichtigt.



## 5 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/richtlinien/42/>.
2. European Medicines Agency. Scenese : EPAR - Product Information [online]. 2020 [Zugriff: 20.01.2021]. URL: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/scenese-epar-product-information\\_de.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/scenese-epar-product-information_de.pdf).
3. Holme SA, Anstey AV, Finlay AY et al. Erythropoietic protoporphyria in the U.K.: clinical features and effect on quality of life: EPP, clinical features and quality of life. Br J Dermatol 2006; 155(3): 574-581. <https://dx.doi.org/10.1111/j.1365-2133.2006.07472.x>.
4. European Medicines Agency. Scenese; assessment report; Procedure No. EMEA/H/C/002548/0000 [online]. 2014 [Zugriff: 20.01.2021]. URL: [https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/scenese-epar-public-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/scenese-epar-public-assessment-report_en.pdf).
5. Statistisches Bundesamt. Bevölkerungsstand [online]. [Zugriff: 20.02.2020]. URL: [https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/\\_inhalt.html](https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/_inhalt.html).
6. GKV-Spitzenverband. Die gesetzlichen Krankenkassen [online]. [Zugriff: 20.01.2021]. URL: [https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/kv\\_grundprinzipien/alle\\_gesetzlichen\\_krankenkassen/alle\\_gesetzlichen\\_krankenkassen.jsp](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/kv_grundprinzipien/alle_gesetzlichen_krankenkassen/alle_gesetzlichen_krankenkassen.jsp).

## Anhang A – Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen

### Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung externer Sachverständiger (einer medizinisch-fachlichen Beraterin / eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Beraterinnen oder Berater, die wissenschaftliche Forschungsaufträge für das Institut bearbeiten, haben gemäß § 139b Abs. 3 Satz 2 SGB V „alle Beziehungen zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, insbesondere der pharmazeutischen Industrie und der Medizinprodukteindustrie, einschließlich Art und Höhe von Zuwendungen“ offenzulegen. Das Institut hat von dem Berater ein ausgefülltes Formular „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ erhalten. Die Angaben wurden durch das speziell für die Beurteilung der Interessenkonflikte eingerichtete Gremium des Instituts bewertet. Es wurden keine Interessenkonflikte festgestellt, die die fachliche Unabhängigkeit im Hinblick auf eine Bearbeitung des vorliegenden Auftrags gefährden. Im Folgenden sind die Angaben zu Beziehungen zusammengefasst. Alle Informationen beruhen auf Selbstangaben der Person anhand des „Formblatts zur Offenlegung von Beziehungen“. Das Formblatt ist unter [www.iqwig.de](http://www.iqwig.de) abrufbar. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6	Frage 7
Böhm, Markus	ja	ja	ja	nein	nein	nein	nein

Im „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ (Version 03/2020) wurden folgende 7 Fragen gestellt:

*Frage 1:* Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor bei einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband angestellt oder für diese / dieses / diesen selbstständig oder ehrenamtlich tätig bzw. sind oder waren Sie freiberuflich in eigener Praxis tätig?

*Frage 2:* Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor eine Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. eine Klinik, eine Einrichtung der Selbstverwaltung, eine Fachgesellschaft, ein Auftragsforschungsinstitut), ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Medizinproduktehersteller oder einen industriellen Interessenverband beraten (z. B. als Gutachter/-in, Sachverständige/r, in Zusammenhang mit klinischen Studien als Mitglied eines sogenannten Advisory Boards / eines Data Safety Monitoring Boards [DSMB] oder Steering Committees)?

*Frage 3:* Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband Honorare erhalten (z. B. für Vorträge, Schulungstätigkeiten, Stellungnahmen oder Artikel)?

*Frage 4:* Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband sogenannte Drittmittel erhalten (d. h. finanzielle Unterstützung z. B. für Forschungsaktivitäten, die Durchführung klinischer Studien, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen)? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

*Frage 5:* Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen, z. B. Ausrüstung, Personal, Unterstützung bei der Ausrichtung einer Veranstaltung, Übernahme von Reisekosten oder Teilnahmegebühren für Fortbildungen / Kongresse erhalten von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller

oder einem industriellen Interessenverband? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

*Frage 6:* Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einem Auftragsforschungsinstitut), eines pharmazeutischen Unternehmens, eines Medizinprodukteherstellers oder eines industriellen Interessenverbands? Besitzen Sie Anteile eines sogenannten Branchenfonds, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Medizinproduktehersteller ausgerichtet ist? Besitzen Sie Patente für ein pharmazeutisches Erzeugnis, ein Medizinprodukt, eine medizinische Methode oder Gebrauchsmuster für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt?

*Frage 7:* Sind oder waren Sie jemals an der Erstellung einer medizinischen Leitlinie oder klinischen Studie beteiligt, die eine mit diesem Projekt vergleichbare Thematik behandelt/e? Gibt es sonstige Umstände, die aus Sicht von unvoreingenommenen Betrachtenden als Interessenkonflikt bewertet werden können, z. B. Aktivitäten in gesundheitsbezogenen Interessengruppierungen bzw. Selbsthilfegruppen, politische, akademische, wissenschaftliche oder persönliche Interessen?