

NUB Antrag 2024/2025

Luspatercept

Haben Sie externe Hilfestellungen zum Ausfüllen der Formblätter in Anspruch genommen? Wenn ja, bitte geben Sie an, welche Hilfestellung Sie in Anspruch genommen haben?

Dieser Antrag wurde durch die deutsche Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V. vorformuliert.

Angefragte Untersuchungs- und Behandlungsmethode

Luspatercept

Alternative Bezeichnung(en) der Methode

Reblozyl®

Beruhet die neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode vollständig oder in Teilen auf dem Einsatz eines Medizinproduktes?

ja nein ankreuzen

Wurde für diese angefragte Untersuchungs- und Behandlungsmethode von Ihrem Krankenhaus bereits vor dem 01.01.2024 eine Anfrage gemäß §6 Abs. 2 KHEntG an das InEK übermittelt?

Ja/nein ankreuzen. Bei ja Nummer aus Liste auswählen

Beschreibung der neuen Methode

Wirkweise:

Luspatercept ist ein rekombinantes Fusionsprotein, das an Liganden der TGF- β -Familie bindet. Durch Bindung an spezifische endogene Liganden (z. B. GDF-11, Activin B) hemmt Luspatercept den Smad2/3-Signalweg und ermöglicht so die erythroide Reifung über Differenzierung von erythroiden Vorläuferzellen (Normoblasten) in der späten Phase der Erythropoese im Knochenmark. Der Smad2/3-Signalweg ist in Krankheitsmodellen, die sich durch eine ineffiziente Erythropoese auszeichnen, d. h. MDS und β -Thalassämie, und im Knochenmark von MDS-Patienten abnorm hochreguliert.

Evidenzlage:

Myelodysplastische Syndrome

Die Wirksamkeit und Sicherheit von Luspatercept wurde in der multizentrischen, randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Phase-III-Studie MEDALIST (ACE-536-MDS-001) bei erwachsenen Patienten mit Anämie, die EK-Transfusionen (≥ 2 Einheiten/8 Wochen) aufgrund ihres sehr niedrigen, niedrigen oder intermediären Risiko-MDS gemäß International Prognostic Scoring System-Revised (IPSS-R) benötigten und Ringsideroblasten aufwiesen ($\geq 15\%$). 229 Patienten wurden randomisiert in Luspatercept in Kombination mit Best Supportive Care (BSC) im Vergleich zu Placebo plus BSC. Primärer Endpunkt war eine Transfusionsfreiheit ≥ 8 Wochen. Diese wurde in den Wochen 1 bis 24 von 37,9 Prozent der Patienten mit Luspatercept und von 13,2 Prozent der Patienten mit Placebo erreicht (Odds Ratio 5,065, 95% KI 2,278; 11,259, $p < 0,0001$).

Beta-Thalassämie

Die Wirksamkeit und Sicherheit von Luspatercept wurde in der multizentrischen, randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Phase-III-Studie BELIEVE (ACE-536-B-THAL-001) untersucht. Die Studienpopulation umfasste erwachsene Patienten mit β -Thalassämie-assoziiierter Anämie, die auf EK-Transfusionen von 6 bis 20 Einheiten/24 Wochen ohne transfusionsfreien Zeitraum von > 35 Tagen/24 Wochen angewiesen waren. 336 Patienten erhielten entweder Luspatercept in Kombination mit BSC oder Placebo plus BSC. Primärer Endpunkt war eine ≥ 33 -prozentige Verringerung der EK-Transfusionslast während der Wochen 13 bis 24 im Vergleich zum 12-Wochen-Ausgangswert vor der Randomisierung. Unter Luspatercept erreichten mit 21,4 Prozent signifikant

NUB-Musteranfrage Luspatercept

[Arbeitskreis DRG und Gesundheitsökonomie der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V.](#)

www.dgho.de

Seite 1 von 3

25-073 Luspatercept NUB-Anfrage-DGHO_Stand 2024-09-07 final

NUB Antrag 2024/2025

Luspatercept

mehr Patienten den primären Endpunkt als unter Placebo mit 4,5 Prozent ($p < 0,0001$) Quelle Fachinformation Stand März 2024.

Dosierung:

Myelodysplastische Syndrome:

1,0 mg/kg i.v., verabreicht einmal alle 3 Wochen. Eine Dosiserhöhung auf bis zu 1,75 mg/kg ist möglich.

Beta -Thalassämie:

1,0 mg/kg i.v., verabreicht einmal alle 3 Wochen. Eine Dosiserhöhung auf bis zu 1,25 mg/kg ist möglich

Mit welchem OPS wird die Methode verschlüsselt?

6-00d.f

Anmerkungen zu den Prozeduren

Bei welchen Patienten wird die Methode angewandt (Indikation)?

Luspatercept wird angewendet für die Behandlung von erwachsenen Patienten mit transfusionsabhängiger Anämie aufgrund von myelodysplastischen Syndromen (MDS), mit sehr niedrigem, niedrigem oder intermediärem Risiko.

Luspatercept wird bei Erwachsenen angewendet für die Behandlung von Anämie, die mit transfusionsabhängiger und nicht-transfusionsabhängiger Beta-Thalassämie verbunden ist.

Welche bestehende Methode wird durch die neue Methode abgelöst oder ergänzt?

Luspatercept ergänzt die vorhandenen Therapieoptionen bei Patienten mit Beta-Thalassämie und MDS.

Ist die Methode vollständig oder in Teilen neu und warum handelt es sich um eine neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode?

In den Informationen nach §6 Abs. 2 KHEntgG für 2024 hat Luspatercept den Status 1.

Welche Auswirkungen hat die Methode auf die Verweildauer im Krankenhaus?

Zur Veränderung der Verweildauer im Krankenhaus können derzeit aufgrund fehlender Erfahrungen keine Aussagen gemacht werden.

Wann wurde diese Methode in Deutschland eingeführt?

01.08.2020

Bei Medikamenten: Wann wurde dieses Medikament zugelassen?

25.06.2020

Wann wurde bzw. wird die Methode in Ihrem Krankenhaus eingeführt?

[bitte ergänzen]

In wie vielen Kliniken wird diese Methode derzeit eingesetzt (Schätzung)?

Luspatercept wird schätzungsweise in ca. 400 Kliniken in Deutschland eingesetzt (Schätzungen aufgrund der NUB-Anfragen des Vorjahres).

NUB Antrag 2024/2025

Luspatercept

Wie viele Patienten wurden in Ihrem Krankenhaus in 2023 oder in 2024 mit dieser Methode behandelt?

In 2023

[bitte ergänzen]

In 2024

[bitte ergänzen]

Wieviele Patienten planen Sie im Jahr 2025 mit dieser Methode zu behandeln?

[bitte ergänzen]

Entstehen durch die neue Methode Mehrkosten gegenüber dem bisher üblichen Verfahren? Wenn ja, wodurch? In welcher Höhe (möglichst aufgetrennt nach Personal- und Sachkosten)?

Sachkosten:

Preis pro Durchstechflasche mit 25 mg 1.358,00 € und mit 75 mg 3.974,34 € (Rote Liste, AVP (EB) – Stand 25.08.2024)

Beispiel für einen Patienten mit 75 kg bei 1mg/kg Anfangsdosis: 3.974,34 €/Behandlungstag

Welche DRG(s) ist/sind am häufigsten von dieser Methode betroffen?

R61H

Warum ist diese Methode aus Ihrer Sicht derzeit im G-DRG-System nicht sachgerecht abgebildet?

Luspatercept wurde im Jahr 2020 zugelassen und ist seit dem Jahr 2020 in Deutschland auf dem Markt.

Für das Datenjahr 2023 sollten aus den Kalkulationshäusern Kostendaten für den Einsatz vorliegen.

Wir vermuten, dass die Stichprobe jedoch zu klein war, als dass genügend Kosten- und Leistungsdaten aus den Krankenhäusern vorliegen, um damit eine sachgerechte Abbildung im G-DRG System 2025 zu ermöglichen.

Die zusätzlichen Kosten von im Mittel ca. 4.000 € pro Applikation können aber mit der/den o.g. Fallpauschale(n) allein nicht ausreichend abgebildet werden.

Aufgrund der hohen Kosten des Medikaments kommt es zu einer Unterfinanzierung in der/den betroffenen DRG.