

NUB Antrag 2024/2025

Valoctocogene Roxaparvovec

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

Valoctocogene Roxaparvovec

Alternative Bezeichnung(en) der Methode

Roctavian®

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

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:

Roctavian enthält den Wirkstoff Valoctocogene Roxaparvovec und gehört zu den Arzneimitteln für neuartige Therapien, die als "Gentherapieprodukte" bezeichnet werden. Dabei handelt es sich um eine Art von Medikament, das durch die Zuführung von Genen in den Körper wirkt. (Adeno-associated viral vector serotype 5 containing a B-domain deleted variant of human coagulation factor VIII gene). Das Virus (AAV5) wurde so verändert, dass es das Gen für den Faktor VIII enthält, der bei Patienten mit Hämophilie A fehlt. Nach der Verabreichung an den Patienten soll das Virus das Faktor-VIII-Gen in die Leberzellen tragen, so dass diese den fehlenden Faktor VIII über einen langen Zeitraum produzieren können. Dadurch soll die Blutungsstörung unter Kontrolle gebracht werden.

Evidenzlage:

Eine klinische Phase III-Studie (270-301), an der 134 erwachsene männliche Patienten mit schwerer Hämophilie A teilnahmen, ergab, dass Valoctocogene roxaparvovec die Faktor-VIII-Aktivität wirksam erhöht und dass diese Erhöhung mindestens zwei Jahre lang anhält. 24 Monate nach Verabreichung einer Einzeldosis des Arzneimittels wiesen 76% der Patienten einen durchschnittlichen Faktor-VIII-Aktivitätswert von mindestens 5 internationalen Einheiten pro Deziliter (IE/dL) auf, was ein Maß für eine leichte Hämophilie ist. Quelle: Fachinformation vom Juli 2023, Stand 31.8.2024

Dosierung:

6×10 Vektorgenomen (vg) pro Kg Körpergewicht als einmalige Infusion i.v

Mit welchem OPS wird die Methode verschlüsselt?

6-00k.b

Anmerkungen zu den Prozeduren

In den Informationen nach §6 Abs. 2 KHEntG für 2024 hat Valoctogene roxaparvovec den Status 1.

NUB-Musteranfrage Valoctogene Roxaparvovec

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

www.dgho.de

Seite 1 von 3

25-137 Valoctogene Roxaparvovec NUB-Anfrage-DGHO_Stand 2024-09-08 final

NUB Antrag 2024/2025

Valoctocogene Roxaparvovec

Bei welchen Patienten wird die Methode angewandt (Indikation)?

Valoctocogene roxaparvovec wird angewendet in der Behandlung von schwerer Hämophilie A (kongenitalem Faktor-VIII-Mangel) bei erwachsenen Patienten ohne Faktor-VIII-Inhibitoren in der Vorgeschichte und ohne nachweisbare Antikörper gegen Adeno-assoziiertes Virus Serotyp 5 (AAV5)

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

Valoctocogene roxaparvovec löst vor allem die Gabe von rekombinanten und plasmatischen Gerinnungsfaktor VIII Präparaten ab.
Ferner kommen die Wirkstoffe Turoctocog alfa pegol (Esperoct), Damoctocog alfa pegol (Jivi) oder Emicizumab (Hemlibra, NUB-Entgelt) zum Einsatz.

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 Valoctocogene roxaparvovec 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?

15.9.2022

Bei Medikamenten: Wann wurde dieses Medikament zugelassen?

24.8.2022

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

[bitte ergänzen]

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

Valoctocogene roxaparvovec wurde von 230 Kliniken in Deutschland für 2024 als NUB angefragt. Der tatsächliche Einsatz dürfte auf wenige Zentren begrenzt sein.

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:

Dosierung: 6×10^{13} Vektorgenomen (vg) pro Kilogramm Körpergewicht

NUB Antrag 2024/2025

Valoctocogene Roxaparvovec

Preis: Eine Durchstechflasche enthält 16×10^{13} Vektorgenome in 8 ml Lösung. Der Preis für eine Flasche beträgt 33.938,26 (Rote Liste (AVP/UVP) inkl. MwSt., Stand 4.9.2024).

Ein Patient mit einem Körpergewicht von 75 kg benötigt 450×10^{13} vg, entsprechend 28,125 Flaschen. Der Preis ohne Verwurf beträgt 954.513,56 €.

Personalkosten:

Für die Zubereitung: ca. 120 Minuten (MTD Apotheke)

Für die Applikation: ca. 300 Minuten (ÄD) und ca. 150 Minuten (PD)

Für die Überwachung: ca. 300 Minuten (PD), ca. 300 Minuten (ÄD)

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

Q60

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

Valoctocogene roxaparvovec ist erst seit Ende 2022 in Deutschland auf dem Markt.

Für das Datenjahr 2023 können daher aus den Kalkulationshäusern keine Kostendaten für den Einsatz vorliegen.

Eine sachgerechte Abbildung im G-DRG System 2025 wird damit nicht möglich.

Die zusätzlichen Kosten von im Mittel 950.000 € pro Behandlung 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 den entsprechenden Fällen der betroffenen DRG(s).