

NUB Antrag 2024/2025

Fidanacogene eleparvovec

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

Fidanacogene eleparvovec

Alternative Bezeichnung(en) der Methode

Durveqtix®

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?

Nein ankreuzen, da Medikament bisher noch nicht beim InEK angefragt wurde.

Beschreibung der neuen Methode

Wirkweise:

Der Wirkstoff in Durveqtix, fidanacogene elaparvovec, basiert auf einem Virus, das so verändert wurde, dass es eine Kopie des für die Produktion von Faktor IX verantwortlichen Gens enthält. Wenn das Virus dem Patienten verabreicht wird, überträgt es das Faktor-IX-Gen auf die Leberzellen, so dass diese den fehlenden Faktor IX produzieren können und dadurch die Blutungsepisoden eindämmen.

Der in diesem Medikament verwendete Virustyp (Adeno-assoziiertes Virus, Serotyp Rh74) verursacht beim Menschen keine Krankheiten.

Evidenzlage:

Die Wirksamkeit von fidanacogene elaparvovec wurde in einer offenen, standortübergreifenden Phase-3-Studie (C0371002, N=45) geprüft. Der primäre Endpunkt war die jährliche Blutungsrate (ABR) für alle Blutungen (behandelt und unbehandelt) von Woche 12 bis Monat 15 im Vergleich zum üblichen Faktor-IX-Prophylaxe-Ersatzregime. Fidanacogene Elaparvovec führte im Vergleich zur Faktor-IX-Prophylaxe zu einem statistisch signifikanten Rückgang von ABRtotal (Behandlungsdifferenz und 95 % KI: -3,06 [-5,34, -0,78], zweiseitig $p = 0,0084$).

Dosierung:

Fidanacogene eleparvovec wird einmalig als Infusion in eine Vene über einen Zeitraum von etwa einer Stunde verabreicht. Die Dosis hängt vom Gewicht des Patienten ab. Die empfohlene Dosis von Fidanacogene eleparvovec ist eine Einzeldosis von 5×10^{11} Vektorgenomen pro kg (vg/kg) Körpergewicht.

Mit welchem OPS wird die Methode verschlüsselt?

bitte ankreuzen: „Derzeit sind keine Prozedurencodes (OPS) verfügbar.“

Anmerkungen zu den Prozeduren

Bei welchen Patienten wird die Methode angewandt (Indikation)?

NUB-Musteranfrage Fidanacogene eleparvovec

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

www.dgho.de

Seite 1 von 3

25-148 Fidanacogene eleparvovec_NUB-Anfrage-DGHO_Stand 2024-10-11 final

NUB Antrag 2024/2025

Fidanacogene eleparvovec

Durveqtix® ist indiziert für die Behandlung von schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) bei erwachsenen Patienten ohne Faktor-IX-Inhibitoren in der Vorgeschichte und ohne nachweisbare Antikörper gegen die Variante des AAV-Serotyps Rh74.

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

Die Gentherapie mit Durveqtix erweitert das bisherige Therapiespektrum der Substitutionstherapie bei Hämophilie B um eine weitere Therapie, die das Potential hat, bei betroffenen Patienten ausreichende F IX Spiegel zu erreichen, die dann eine regelmäßige Substitution überflüssig machen.

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

Es handelt sich um eine Erweiterung der Gentherapie in der Therapie der Hämophilie B.

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?

Die Einführung in Deutschland wird zeitnah nach der Zulassung erwartet.

Bei Medikamenten: Wann wurde dieses Medikament zugelassen?

24.07.2024

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

[bitte ergänzen]

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

Unbekannt. Da es sich um ein ATMP handelt, muss das applizierende Zentrum speziell autorisiert sein und die ATMP-QS-Richtlinie des G-BA umsetzen. Es wird daher erwartet, dass die Substanz in Deutschland lediglich in wenigen spezialisierten Zentren zum Einsatz kommt.

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)?

Preisinformationen liegen aktuell noch nicht vor. Erwartungsgemäß wird sich das Preisniveau in einem ähnlichen Bereich bewegen wie bei Etranacogen dezaparvovec. Somit ist eine Kostenbereich von über 1 Mio Euro zu erwarten. Stationäre Fälle mit Gentherapeutika sind als Extremkostenfälle zu bewerten.

NUB Antrag 2024/2025

Fidanacogene eleparvovec

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?
--

Fidanacogene eleparvovec erhielt im Juli 2024 die bedingte Zulassung durch die EMA, die Markteinführung steht bevor.
--

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 gemessen am bisherigen Preisniveau von Gentherapien im siebenstelligen Eurobereich 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).
--