

# NUB Antrag 2024/2025 – rADAMTS13

**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**

rADAMTS13

**Alternative Bezeichnung(en) der Methode**

Rekombinantes ADAMTS13, Adzynma®

**Beruht 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]

**Beschreibung der neuen Methode**

**Wirkweise:**

rADAMTS13 ist eine rekombinante Form des körpereigenen ADAMTS13. ADAMTS13 ist eine Zink Metalloprotease im Plasma, die die Aktivität des von Willebrand-Faktors (VWF) reguliert, indem sie große und ultragroße VWF-Multimere in kleinere Einheiten spaltet und dadurch die Bindungseigenschaften von VWF an Thrombozyten und seine Neigung zur Bildung von Mikrothromben reduziert. rADAMTS13 soll die spontane Bildung von Mikrothromben aus VWF-Multimeren und Thrombozyten, die zu einem Thrombozytenschwund und einer Thrombozytopenie bei Patienten mit cTTP führt, reduzieren oder eliminieren.

**Evidenzlage:**

Um die Wirksamkeit und Sicherheit der prophylaktischen und bedarfsorientierten Enzymersatztherapie mit rADAMTS13 im Vergleich zu plasmabasierten Therapien (Standard of Care SoC: FFP, S/D-Plasma und FVIII vWF-Konzentrate) bei Patienten mit cTTP (ADAMTS13 Aktivität < 10%) zu beurteilen, wurde rADAMTS13 in einer multizentrischen, randomisierten, aktiv kontrollierten, zwei-phasigen, cross-over, open Label-Studie der Phase 3 (Studie 281102) untersucht. Primärer Wirksamkeitsendpunkt der Studie ist das Auftreten akuter cTTP-Ereignisse bei Patienten, die entweder rADAMTS13 oder SoC prophylaktisch während der entsprechenden Behandlungszeiträume erhalten.

rADAMTS13 war dem SoC im Hinblick auf den primären Endpunkt (0 vs. 1 Ereignis) überlegen. Bei keinem Patienten konnte unter rADAMTS13-Therapie ein akutes Ereignis während des Studienzeitraums festgestellt werden, während ein Patient unter SoC ein akutes Ereignis erlitt. Das Auftreten subakuter cTTP-Ereignisse war im rADAMTS13 Behandlungsarm im Vergleich zum SoC-Arm signifikant niedriger ( $p=0,0491$ ). Während im SoC-Arm 6 Patienten während des Beobachtungszeitraums ein solches Ereignis aufwiesen, war dies in der rADAMTS13 Gruppe lediglich bei einem Patienten der Fall. Das signifikant geringere Auftreten subakuter cTTP-Ereignisse unter rADAMTS13 (OR: 0,148 [0; 0,994]) ist ein Hinweis auf die überlegene Wirksamkeit von rADAMTS13 im Vergleich zur Standardtherapie zur Vermeidung subakuter Ereignisse.

NUB-Musteranfrage rADAMTS13

[Arbeitskreis DRG und Gesundheitsökonomie der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V.](http://www.dgho.de)  
www.dgho.de

Seite 1 von 4

25-160 rADAMTS13\_NUB-Anfrage-DGHO\_Stand 2024-10-04\_final

# NUB Antrag 2024/2025 – rADAMTS13

## **Dosierung:**

Die empfohlene Dosis für die prophylaktische Behandlung mit rADAMTS13 beträgt 40 I.E./kg alle 2 Wochen. Je nach klinischem Ansprechen kann die Häufigkeit der Dosierung auf 40 I.E./kg einmal wöchentlich angepasst werden. Bei der Behandlung eines akuten cTTP-Ereignis wird eine Anfangsdosis von 40 I.E./kg rADAMTS13 verabreicht. Eine Folgedosis von 20 I.E./kg rADAMTS13 wird an Tag 2 gegeben. Ab Tag 3 bis zwei Tage nach Abklingen des akuten Ereignisses werden täglich 15 I.E./kg empfohlen.

## Quellenangaben:

- (1) Scully et al. N Engl J Med 2024 May 1;390:1584-1596 DOI: 10.1056/NEJMoa2314793
- (2) Fachinformation ADZYNMA® Takeda, Stand August 2024

## **Mit welchem OPS wird die Methode verschlüsselt?**

Derzeit sind keine Prozedurencodes (OPS) verfügbar.

## **Anmerkungen zu den Prozeduren**

## **Bei welchen Patienten wird die Methode angewandt (Indikation)?**

rADAMTS13 ist eine Enzymersatztherapie (EET) zur Behandlung eines ADAMTS13-Mangels bei Kindern und Erwachsenen mit kongenitaler thrombotisch- thrombozytopenischer Purpura (cTTP). rADAMTS13 ist für alle Altersgruppen geeignet.

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

Es handelt sich um eine neuartige Therapieoption für Patienten in diesem Indikationsgebiet. Die bisherige Behandlung dieses Patientenkollektivs erfolgt mit plasmabasierten Therapien wie fresh frozen plasma und S-/D-Plasma (Octaplas®). Diese sind jedoch nicht bezüglich der ADAMTS13 Konzentration standardisiert und können die notwendigen ADAMTS13 Spiegel nicht erreichen.

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

rADAMTS13 stellt eine vollständig neue Therapieoption dar, die noch nicht im DRG-System abgebildet ist. Das rekombinante ADAMTS13 ist identisch zu dem körpereigenen ADAMTS13. Die Einführung von rADAMTS13 ermöglicht erstmals eine gezielte Enzymersatztherapie, die unabhängig von Plasmaspenden ist und das Risiko von Überempfindlichkeitsreaktionen und Infektionen minimiert.

## **Welche Auswirkungen hat die Methode auf die Verweildauer im Krankenhaus?**

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

## **Wann wurde diese Methode in Deutschland eingeführt?**

Die Markteinführung erfolgte am 01. September 2024

## **Bei Medikamenten: Wann wurde dieses Medikament zugelassen?**

01.08.2024

# NUB Antrag 2024/2025 – rADAMTS13

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

[bitte ergänzen]

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

Unbekannt.

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

2023

[bitte ergänzen]

2024

[bitte ergänzen]

**Wie viele 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:**

rADAMTS13 wird intravenös verabreicht, wobei die Dosierung vom Körpergewicht der Patienten abhängt.

**Zur Prophylaxe** wird eine Dosis von 40 I.E./kg empfohlen. Bei einem Patienten mit 77 kg ergibt sich somit eine Dosis von 3.080 I.E. (2 Durchstechflaschen (DF) à 1.500 I.E. zu je 6.805,13 € (Taxe-VK inkl. MwSt. gem. Lauer-Taxe Stand 30.09.24) und 1 DF à 500 I.E. zu 2.306,82 € (Taxe-VK inkl. MwSt. gem. Lauer-Taxe Stand 30.09.24). Dies entspricht Kosten in Höhe von 15.917,08 € alle zwei Wochen.

Patienten mit der Haupt-(HD) oder Nebendiagnose (ND) M31.1 verbringen im Durchschnitt 12,6 Tage (DRG L72Z) im Krankenhaus. Es ist daher wahrscheinlich, dass sie während ihres Aufenthalts 1-2 prophylaktische Dosen erhalten, was in diesem Beispiel Kosten von 15.917,08 € – 31.834,16 € verursacht.

**In der Akuttherapie**, ausgehend von einem 3 Tage andauernden Ereignis, wird bei einem 77 kg schweren Patienten eine Dosis von 8.085 I.E. empfohlen (6 DF à 1.500 I.E. und 2 DF à 500 I.E.). Diese setzt sich zusammen aus einer Initialdosis von 40 I.E./kg am Tag 1 (3.080 I.E.  $\cong$  2 DF à 1.500 I.E. und 1 DF à 500 I.E.), gefolgt von 20 I.E./kg am Tag 2 (1.540 I.E.  $\cong$  1 DF à 1.500 I.E. und 1 DF à 500 I.E.). Ab Tag 3 bis zwei Tage nach dem Abklingen der akuten cTTP-Episode werden 15 I.E./kg verabreicht (1.155 I.E.  $\cong$  1 DF à 1.500 I.E.). Somit ergeben sich für einen 77 kg schweren Patienten mit einem akuten Ereignis von 3 Tagen, inklusive zwei Tagen Fortführung der Gabe, Kosten von 45.444,42€ (Taxe-VK inkl. MwSt. gem. Lauer-Taxe Stand 30.09.24) pro Ereignis.

**Personalkosten:**

Keine relevanten Kosten, da es sich um eine kurze Injektion handelt.

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

L72Z

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

# NUB Antrag 2024/2025 – rADAMTS13

---

rADAMTS13 wurde erst im August 2024 zugelassen und ist erst seit September 2024 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.

Für die Indikation cTTP ist kein spezifischer ICD-10 Code vorhanden, sie wird in der Regel unter den thrombotischen Mikroangiopathien mit dem ICD Code M31.1 klassifiziert. Akute Episoden wie die oben beschriebenen mikrovaskulären Thrombosen oder Gewebischämien führen je nach Schwere der Symptome zu einer stationären Behandlung. Die cTTP kann dabei als HD und ND auftreten. Die häufigste DRG (laut InEK-Datenbrowser 2023) mit der HD oder ND M31.1 ist die DRG L72Z.

Eine Aufnahme der zu behandelnden Patienten kann auch aus anderen Gründen erforderlich sein, bei denen eine bereits ambulant begonnene Therapie stationär fortgesetzt werden muss. Dann kann nahezu jede DRG betroffen sein.

Die zusätzlichen Kosten von beispielhaft 15.917,08 € – 31.834,16 € für die Prophylaxe bzw. 45.444,42 € für eine Akuttherapie pro Aufenthalt können mit der o.g. Fallpauschale nicht ausreichend abgebildet werden. Aufgrund der hohen Kosten des Medikaments kommt es zu einer Unterfinanzierung in der/den betroffenen DRG(s). Eine sachgerechte Abbildung im G-DRG System 2025 liegt damit nicht vor.