

IQWiG-Berichte – Nr. 453

**Pitolisant
(Narkolepsie) –
Bewertung gemäß
§ 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V**

Dossierbewertung

Auftrag: G16-12
Version: 1.0
Stand: 27.10.2016

Impressum

Herausgeber:

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema:

Pitolisant (Narkolepsie) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V

Auftraggeber:

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags:

01.08.2016

Interne Auftragsnummer:

G16-12

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

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Medizinisch-fachliche Beratung:

Für die vorliegende Dossierbewertung stand keine Beraterin / kein Berater zu medizinisch-fachlichen Fragen zur Verfügung.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiter des IQWiG¹:

- Carolin Weigel
- Miriam Luhn
- Sarah Mostardt

Schlagwörter: Pitolisant, Narkolepsie, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords: Pitolisant, Narcolepsy, Health Care Costs, Epidemiology

¹ Aufgrund gesetzlicher Datenschutzbestimmungen haben Mitarbeiter das Recht, ihrer Namensnennung nicht zuzustimmen.

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	iv
Abkürzungsverzeichnis.....	v
1 Hintergrund.....	1
1.1 Verlauf des Projekts.....	1
1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	1
2 Nutzenbewertung	3
3 Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3, Abschnitt 3.2).....	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 GKV-Patienten in der Zielpopulation	4
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3, Abschnitt 3.3)	5
3.2.1 Behandlungsdauer	5
3.2.2 Verbrauch	5
3.2.3 Kosten.....	5
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	5
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	5
3.2.6 Versorgungsanteile	5
3.3 Konsequenzen für die Bewertung.....	5
4 Zusammenfassung der Dossierbewertung.....	6
4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet	6
4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie	6
4.3 Anzahl der Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	6
4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung	6
4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung	6
5 Literatur	7

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation.....	6
Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient.....	6

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
AM-NutzenV	Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Pitolisant (Wakix) ist ein Medikament zur Behandlung der Narkolepsie und damit ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen² ist. Für diese Präparate gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 10 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) innerhalb von 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur 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 10 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers allein im Hinblick auf die Angaben

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

zu bewerten.

1.1 Verlauf des Projekts

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

Die Angaben im Dossier des pU wurden unter Berücksichtigung der Anforderungen bewertet, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossievorlagen beschrieben sind (siehe Verfahrensordnung 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 an den G-BA übermittelt und 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. Weitere Informationen

² Nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden.

zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

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.

2 Nutzenbewertung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Aus diesem Grund entfällt das Kapitel Nutzenbewertung an dieser Stelle.

3 Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der 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 Narkolepsie wird vom pU nachvollziehbar und plausibel dargestellt. Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation; Pitolisant ist indiziert bei Erwachsenen zur Behandlung der Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie [2].

3.1.2 GKV-Patienten in der Zielpopulation

Der pU nutzt Leitlinien und die dort genannten Referenzen zur Identifikation geeigneter epidemiologischer Quellen. Die Ergebnisse stellt er in einer Übersicht dar (siehe Modul 3 A, S. 29) und gibt eine Spanne für die Prävalenz von Narkolepsie mit und ohne Kataplexie von 25 bis 50 pro 100 000 Einwohner an. Diese Spanne basiert im Wesentlichen auf 3 epidemiologischen Studien aus den USA (Minnesota) [3], Finnland [4] und Europa (Vereinigtes Königreich, Deutschland, Italien, Portugal und Spanien) [5].

Bezogen auf die Anzahl der GKV-Versicherten und den Anteil der Erwachsenen daran schätzt der pU die Zahl der Betroffenen auf 14 920 bis 29 840 Patienten ab 18 Jahren, die an Narkolepsie mit und ohne Kataplexie erkrankt sind.

Bewertung des Vorgehens des pU

Die Herleitung des Umfangs der Zielpopulationen durch den pU ist nachvollziehbar, allerdings ist sie mit Unsicherheit in unbekannter Größenordnung behaftet. Die zitierten Erhebungen beruhen in der Regel auf Telefonsurveys und unterscheiden sich in den berücksichtigten Schweregraden. Teilweise geht nicht eindeutig aus der Darstellung hervor, ob Narkolepsiepatienten mit und ohne zusätzlich bestehender Kataplexie berücksichtigt wurden, und auf welchen Altersbereich sich die Prävalenzangaben beziehen. Darüber hinaus ist es fraglich, ob die Prävalenzangaben aus unterschiedlichen Ländern auf Deutschland übertragbar sind. Der pU gibt zudem an, dass die Dunkelziffer aufgrund von Fehldiagnosen und nicht-diagnostizierten Fällen sehr hoch sei. Die Unsicherheit wurde vom pU durch die Angabe einer Spanne berücksichtigt.

Zukünftige Änderung der Anzahl der GKV-Patienten

Der pU geht davon aus, dass die Anzahl der Patienten in der Zielpopulation in den nächsten Jahren konstant bleibt.

3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung (Modul 3, Abschnitt 3.3)

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

3.2.1 Behandlungsdauer

Der pU stellt die kontinuierliche Behandlung mit Pitolisant korrekt dar [2].

3.2.2 Verbrauch

Die Dosierungsspanne von Pitolisant beträgt 4,5 mg bis 36 mg pro Tag. Die Tagesgesamtdosis soll als Einzeldosis am Morgen während des Frühstücks eingenommen werden [2]. Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation.

3.2.3 Kosten

Pitolisant wurde erstmals am 01.08.2016 in der Lauer-Taxe gelistet und ist in 2 unterschiedlichen Wirkstärken zu 4,5 mg und 18 mg erhältlich. Nach Abzug der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte liegen die Kosten für eine Packung (30 Tabletten) für beide Wirkstärken bei jeweils 564,57 €. Die Kosten werden vom pU korrekt angegeben.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt korrekt an, dass gemäß der Fachinformation keine zusätzlichen Leistungen anfallen [2].

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU beziffert die Jahrestherapiekosten pro Patient mit 6868,94 € für eine Dosierung von 4,5 mg pro Tag sowie mit 13 737,87 € für eine Dosierung von 36 mg pro Tag. Diese Angaben sind plausibel.

3.2.6 Versorgungsanteile

Der pU trifft keine quantitative Aussage zu den erwarteten Versorgungsanteilen von Pitolisant.

3.3 Konsequenzen für die Bewertung

Der vom pU angegebene Umfang der GKV-Zielpopulation ist in seiner Größenordnung plausibel, jedoch mit Unsicherheit behaftet.

Die Angaben zur Höhe der durchschnittlichen Jahrestherapiekosten pro Patient für Pitolisant sind ebenfalls plausibel.

4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet

Pitolisant wird angewendet bei Erwachsenen zur Behandlung der Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie [2].

4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

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

Tabelle 1: Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation	Kommentar
Pitolisant	erwachsene Patienten mit Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie	14 920–29 840 ^a	Der vom pU angegebene Umfang der GKV-Zielpopulation ist in seiner Größenordnung plausibel, jedoch mit Unsicherheit behaftet.
a: Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

4.4 Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung

Tabelle 2: Jahrestherapiekosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patient

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Jahrestherapiekosten pro Patient in €	Kommentar
Pitolisant	erwachsene Patienten mit Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie	6868,94–13 737,87 ^a	Die Jahrestherapiekosten sind plausibel.
a: Angabe des pU. Die Jahrestherapiekosten entsprechen den Arzneimittelkosten. GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt. Der G-BA beauftragt das IQWiG nur damit, die Anzahl der GKV-Patienten in der Zielpopulation und die Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung zu bewerten.

5 Literatur

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. 17.10.2016 [Zugriff: 19.10.2016]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/62-492-1272/VerfO_2016-03-17_iK-2016-09-23.pdf.
2. Bioprojet Pharma. Wakix 4,5mg/18 mg Filmtabletten: Fachinformation [online]. 04.2016 [Zugriff: 29.08.2016]. URL: <http://www.fachinfo.de/>.
3. Silber MH, Krahn LE, Olson EJ, Pankratz VS. The epidemiology of narcolepsy in Olmsted County, Minnesota: a population-based study. *Sleep* 2002; 25(2): 197-202.
4. Hublin C, Kaprio J, Partinen M, Koskenvuo M, Heikkila K, Koskimies S et al. The prevalence of narcolepsy: an epidemiological study of the Finnish Twin Cohort. *Ann Neurol* 1994; 35(6): 709-716.
5. Ohayon MM, Priest RG, Zulley J, Smirne S, Paiva T. Prevalence of narcolepsy symptomatology and diagnosis in the European general population. *Neurology* 2002; 58(12): 1826-1833.