



IQWiG-Berichte – Nr. 1085

Lumasiran (Hyperoxalurie) –

**Bewertung gemäß
§ 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V**

Dossierbewertung

Auftrag: G21-02
Version: 1.0
Stand: 25.03.2021

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Lumasiran (Hyperoxalurie) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

04.01.2021

Interne Auftragsnummer

G21-02

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 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Stefan Kobza
- Eva Höfer
- Sarah Mostardt
- Corinna ten Thoren

Schlagwörter: Lumasiran, Hyperoxalurie, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords: Lumasiran, Hyperoxaluria, Health Care Costs, Epidemiology

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	iv
Abkürzungsverzeichnis	v
1 Hintergrund	1
1.1 Verlauf des Projekts	1
1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung	3
3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)	6
3.2.1 Behandlungsdauer	6
3.2.2 Verbrauch	7
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	7
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	7
3.2.5 Jahrestherapiekosten.....	7
3.2.6 Versorgungsanteile	8
4 Zusammenfassung der Dossierbewertung	9
4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete	9
4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie	9
4.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in den für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	9
4.4 Kosten der Therapie für die GKV	10
4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung	11
5 Literatur	12

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	4
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.....	9
Tabelle 3: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	10

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
PH1	primäre Hyperoxalurie Typ 1
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Lumasiran ist ein Arzneimittel zur Behandlung der Hyperoxalurie. Lumasiran ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Solange der Umsatz des jeweiligen Arzneimittels innerhalb der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) binnen 12 Kalendermonaten maximal 50 Millionen € beträgt, brauchen für Orphan Drugs keine Nachweise über den medizinischen Nutzen und medizinischen Zusatznutzen gegenüber der 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 11 SGB V, das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die Angaben

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

zu bewerten.

1.1 Verlauf des Projekts

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

Für die vorliegende Bewertung war die Einbindung externer Sachverständiger (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) vorgesehen. Allerdings konnten keine externen Sachverständigen, die die notwendigen Voraussetzungen (fachlich-klinische und -wissenschaftliche Expertise, keine gravierenden Interessenkonflikte, kurzfristige zeitliche Verfügbarkeit) erfüllen, über die vorgesehenen Prozesse identifiziert werden.

Bei der Kommentierung der Angaben im Dossier des pU werden die Anforderungen berücksichtigt, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossiervorlagen 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 nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

1.2 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird 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. 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.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Nutzenbewertung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Aus diesem Grund ist die Bewertung des Zusatznutzens nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

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

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und 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

Der pU stellt die Erkrankung der primären Hyperoxalurie Typ 1 (PH1) nachvollziehbar und plausibel dar.

In Modul 3 A (Abschnitt 3.2.3) entspricht die vom pU vorgenommene Charakterisierung der Zielpopulation der Fachinformation von Lumasiran [2]. Demnach wird Lumasiran zur Behandlung von Patientinnen und Patienten mit PH1 in allen Altersgruppen angewendet.

3.1.2 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil	Ergebnis (Patientenzahl)
1	Patientinnen und Patienten mit diagnostizierter PH1 und entsprechender Symptomatik in der deutschen Gesamtbevölkerung im Jahr 2019	-	60–1000
2	von Schritt 1 diejenigen Patientinnen und Patienten in der GKV	87,8 %	53–878

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; PH1: primäre Hyperoxalurie Typ 1; pU: pharmazeutischer Unternehmer

Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit diagnostizierter PH1 und entsprechender Symptomatik in der deutschen Gesamtbevölkerung im Jahr 2019

Gemäß pU wurden 7 Expertinnen und / oder Experten aus verschiedenen deutschen Behandlungszentren mit Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit PH1 um eine Einschätzung verschiedener epidemiologischer Kennzahlen gebeten. Den Angaben des pU zufolge handelte es sich um eine systematische, konsensorientierte, 3-stufige, anonymisierte Gruppenbefragung, die mittels der Delphi-Methode im Jahr 2020 stattfand.

Der pU gibt an, dass sich aus den Experteneinschätzungen für die deutsche Gesamtbevölkerung im Jahr 2019 eine Spanne von 60 bis 1000 (Mittelwert: 273; Median: 120) Patientinnen und Patienten mit PH1 und entsprechender Symptomatik ergibt.

Schritt 2: von Schritt 1 diejenigen Patientinnen und Patienten in der GKV

Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von 87,8 % [3,4] schätzt der pU eine Anzahl von 53 bis 878 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch nachvollziehbar. Dennoch ist aus methodischen Gründen die untere Grenze der vom pU angegebenen Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation tendenziell unterschätzt und die obere Grenze mit Unsicherheit behaftet. Die maßgeblichen Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden dargestellt.

Generell besteht Unsicherheit dadurch, dass es sich bei den vom pU angegebenen Patientenzahlen um Experteneinschätzungen handelt, für die Modul 3 A nicht zu entnehmen ist, auf welcher Datengrundlage sie vorgenommen wurden.

Zur unteren Grenze

Den Ausführungen des pU in Modul 3 A (Abschnitt 3.2.3) ist zu entnehmen, dass sich künftig aufgrund verbesserter genetischer Diagnostik auch eine höhere Anzahl an Patientinnen und Patienten ergeben kann. Demnach beziehen sich die Experteneinschätzungen ausschließlich auf Patientinnen und Patienten mit bereits diagnostizierter PH1. Aufgrund der heterogenen Symptomatik und der Seltenheit der Erkrankung ist davon auszugehen, dass ein Teil der Patientinnen und Patienten bisher nicht diagnostiziert und die zugehörige Anzahl somit in der vom pU angegebenen Spanne nicht berücksichtigt ist. Zusätzlich ist unklar, inwieweit die Einschränkung auf Patientinnen und Patienten, die bereits eine der PH1 entsprechende Symptomatik aufweisen, zu einer Unterschätzung der Patientenzahl für die GKV-Zielpopulation beiträgt.

Weiterhin führt der pU eine Quelle an, die ebenfalls darauf hindeutet, dass die von ihm angegebene untere Grenze tendenziell unterschätzt ist: In der Publikation von Cochat et al. aus dem Jahr 1995 [5] ist auf Basis von 90 in den Jahren 1988 bis 1992 untersuchten und / oder behandelten Patientinnen und Patienten in Frankreich, die durch eine Ärztebefragung identifiziert wurden, für die PH1 eine gemittelte Prävalenzrate von 1,05 pro 1 000 000 Personen angegeben. Wird – trotz bestehender Unsicherheiten zur Übertragbarkeit – diese Prävalenzschätzung mit dem deutschen Bevölkerungsstand im Jahr 2019 multipliziert, so ergibt dies eine Anzahl von 87 Patientinnen und Patienten (Angabe des pU, ohne Veranschlagung eines GKV-Anteils). Auch diese Anzahl kann eine Unterschätzung darstellen, da lediglich ein 5-Jahres-Zeitraum, der eingeschränkte Aktualität aufweist (siehe oben), berücksichtigt wurde und ausschließlich diagnostizierte Patientinnen und Patienten erfasst wurden. Zusätzlich geben die Autoren an, dass die Prävalenz unterschätzt sein könnte, da ausschließlich Nephrologen befragt wurden, jedoch auch Urologen PH1-Fälle untersuchen.

Darüber hinaus ist einer weiteren Quelle [6] eine noch höhere Prävalenz zu entnehmen, die ebenfalls eine Unterschätzung darstellen kann (siehe Bewertung zur oberen Grenze).

Zur oberen Grenze

Der pU führt eine weitere Quelle an, bei der es sich um eine Publikation zu einer Studie aus den Niederlanden von van Woerden et al. aus dem Jahr 2003 [6] handelt. In der Publikation ist auf Basis von 57 erfassten niederländischen Patientinnen und Patienten mit PH1 eine Prävalenzrate von 2,9 pro 1 000 000 Personen angegeben. Wird – trotz bestehender Unsicherheiten zur Übertragbarkeit – diese Prävalenzschätzung mit dem deutschen Bevölkerungsstand im Jahr 2019 multipliziert, so ergibt dies eine Anzahl von 241 Patientinnen und Patienten (Angabe des pU, ohne Veranschlagung eines GKV-Anteils). Diese Anzahl kann ebenfalls eine Unterschätzung darstellen, da ausschließlich diagnostizierte Patientinnen und Patienten berücksichtigt wurden. Zudem legt die Publikation nahe, dass (nahezu) alle Patientinnen und Patienten, die der Prävalenzschätzung zugrunde lagen, sich bereits in einer Dialysebehandlung befanden. Somit waren Patientinnen und Patienten in früheren Krankheitsstadien nicht berücksichtigt. Auch die Autoren des Artikels zu dieser Erhebung gehen von einer Unterschätzung aus, da der heterogene Phänotyp und die vagen initialen Symptome der PH1 dazu führen können, dass eine Untersuchung auf PH1 erst verzögert oder gar nicht stattfindet.

Insgesamt ist unklar, in welchem Ausmaß die vom pU in Schritt 1 veranschlagte obere Grenze von 1000 Patientinnen und Patienten aus der Delphi-Befragung diesen Umständen Rechnung trägt. Dadurch ist diese obere Grenze mit Unsicherheit behaftet.

Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU gibt an, dass sich aus den Experteneinschätzungen (siehe Ausführungen oben zu Schritt 1) für die deutsche Gesamtbevölkerung im Jahr 2025 eine Spanne von 80 bis 1200 Patientinnen und Patienten mit PH1 und entsprechender Symptomatik ergibt. Der Anstieg im Vergleich zum Jahr 2019 sei möglicherweise durch eine verbesserte genetische Diagnostik zu erwarten, die es ermögliche, über gezielte genetische Analysen die Erkrankung effizienter zu diagnostizieren.

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

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

Der pU gibt an, dass es sich bei der PH1 um eine chronische Erkrankung handelt. Er berücksichtigt somit ausschließlich die Behandlungsdauer, den Verbrauch und die Kosten von Lumasiran in der Erhaltungsphase. Dies ist nachvollziehbar.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer entsprechen der Fachinformation [2].

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation [2]. Sie gelten für die Erhaltungsphase (siehe Abschnitt 3.2) und somit ab dem 2. Behandlungsjahr. Wegen eines in der Initialphase höheren Verbrauchs können im 1. Behandlungsjahr höhere Kosten entstehen.

Der Verbrauch von Lumasiran richtet sich nach dem Körpergewicht. Der pU betrachtet dabei der Fachinformation [2] entsprechend 3 Patientengruppen (Körpergewicht: unter 10 kg, 10 kg bis unter 20 kg, ab 20 kg). Dabei veranschlagt er für Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht unter 10 kg als untere Grenze das nach Angaben des pU mediane Körpergewicht eines Neugeborenen (3,46 kg). Für Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht ab 20 kg veranschlagt er als obere Grenze das durchschnittliche Körpergewicht Erwachsener (77 kg) gemäß den aktuellen Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamts aus dem Jahr 2017 [7].

Der pU gibt für das von ihm veranschlagte mediane Gewicht eines Neugeborenen keine Quelle an. Dies hat jedoch für die Bewertung keine Konsequenzen, da für Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht unter 10 kg der Verbrauch in jedem Fall 1 Durchstechflasche pro Behandlung beträgt.

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Lumasiran geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.01.2021, der erstmaligen Listung, wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Nach Angaben des pU ist die Behandlung mit Lumasiran mit keinen zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen verbunden. Der Fachinformation [2] ist zwar zu entnehmen, dass eine sterile Spritze und Nadeln notwendig sind, die nicht in der Packung enthalten sind. Jedoch sind die zugehörigen Kosten in Relation zu den Arzneimittelkosten gering.

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Lumasiran Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 313 940,76 € bis 941 822,28 €. Diese Angabe besteht ausschließlich aus Arzneimittelkosten und ist ab dem 2. Behandlungsjahr in der Größenordnung plausibel. Wegen eines in der Initialphase höheren Verbrauchs können im 1. Behandlungsjahr höhere Kosten entstehen.

Eine eigene Berechnung auf Basis des vom pU je Altersgruppe veranschlagten Verbrauchs ergibt die höchsten Jahrestherapiekosten für Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht unter 10 kg (941 822,28 € zzgl. Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen) und die niedrigsten Jahrestherapiekosten für Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht von 10 kg bis unter 20 kg (313 940,76 € bis 627 881,52 € zzgl. Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen).

3.2.6 Versorgungsanteile

Nach Angaben des pU ist vorgesehen, dass die Behandlung mit Lumasiran prinzipiell im ambulanten Bereich stattfindet, wobei sie vereinzelt auch im stationären Bereich erfolgen kann, beispielsweise bei krankheitsbedingter Hospitalisierung.

Der pU nimmt an, dass insbesondere Kinder und Jugendliche im klinischen Alltag für eine Behandlung mit Lumasiran in Betracht gezogen werden. Nach Angaben des pU handelt es sich dabei – basierend auf Experteneinschätzungen (siehe Abschnitt 3.1.2) – um etwa die Hälfte der Patientinnen und Patienten mit PH1, wobei demnach Kinder unter 6 Jahren etwa ein Drittel der Patientinnen und Patienten mit PH1 darstellen. Daher sei für einen großen Teil der PH1-Population ein Körpergewicht unter 20 kg anzunehmen. Es liegen keine Angaben zu Anteilen der Patientinnen und Patienten mit einem Körpergewicht unter 10 kg (höchste Jahrestherapiekosten, siehe Abschnitt 3.2.5) bzw. 10 kg bis unter 20 kg (niedrigste Jahrestherapiekosten, siehe Abschnitt 3.2.5) vor.

Der pU macht keine Angaben zu von ihm erwarteten Raten an Therapieabbrüchen.

4 Zusammenfassung der Dossierbewertung

4.1 Zugelassene Anwendungsgebiete

Lumasiran wird zur Behandlung der PH1 in allen Altersgruppen angewendet.

4.2 Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet.

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

Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten	Kommentar
Lumasiran	Patientinnen und Patienten mit PH1 in allen Altersgruppen	53–878 ^a	Die Spanne ist mit Unsicherheit behaftet, da sie auf Experteneinschätzungen beruht, für die Modul 3 A nicht zu entnehmen ist, auf welcher Datengrundlage sie vorgenommen wurden. Allerdings ist unter Berücksichtigung weiterer Quellen [5,6] die untere Grenze tendenziell unterschätzt.

a. Angabe des pU. Modul 3 A ist zu entnehmen, dass sich die Angabe ausschließlich auf Patientinnen und Patienten mit bereits diagnostizierter PH1 und entsprechender Symptomatik bezieht.
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; PH1: primäre Hyperoxalurie Typ 1; pU: pharmazeutischer Unternehmer

4.4 Kosten der Therapie für die GKV

Tabelle 3: Kosten für die GKV für das zu bewertende Arzneimittel pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Lumasiran	Patientinnen und Patienten mit PH1 in allen Altersgruppen	313 940,76– 941 822,28	0	0	313 940,76– 941 822,28	Die vom pU angegebenen Jahrestherapiekosten sind ab dem 2. Behandlungsjahr in der Größenordnung plausibel. Wegen eines in der Initialphase höheren Verbrauchs können im 1. Behandlungsjahr höhere Kosten entstehen.
a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; PH1: primäre Hyperoxalurie Typ 1; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

4.5 Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V gilt der Zusatznutzen eines Orphan Drugs durch die Zulassung als belegt. Der entsprechende Auftrag des G-BA an das IQWiG beschränkt sich darauf, das Dossier des pU allein im Hinblick auf die Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation und zu den Kosten der Therapie für die GKV zu bewerten. Die Angaben des pU zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung bleiben daher in der vorliegenden Dossierbewertung unberücksichtigt.

5 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/richtlinien/42/>.
2. Alnylam Pharmaceuticals. Oxlumo 94,5 mg/0,5 ml Injektionslösung [online]. 2020 [Zugriff: 06.01.2021]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
3. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung - Kennzahlen und Faustformeln. 2020.
4. Deutsches Statistisches Bundesamt. Bevölkerung in Deutschland im Jahr 2019 auf 83,2 Millionen gestiegen [online]. 2020 [Zugriff: 09.11.2020]. URL: https://www.destatis.de/DE/Presse/Pressemitteilungen/2020/06/PD20_223_12411.html.
5. Cochat P, Deloraine A, Rotily M et al. Epidemiology of primary hyperoxaluria type 1. Nephrol Dial Transplant 1995; 10(Suppl. 8): 3-7. <https://dx.doi.org/10.1093/ndt/10.supp8.3>.
6. Van Woerden CS, Groothoff JW, Wanders RJ et al. Primary hyperoxaluria type 1 in The Netherlands: prevalence and outcome. Nephrol Dial Transplant 2003; 18(2): 273-279. <https://dx.doi.org/10.1093/ndt/18.2.273>.
7. Statistisches Bundesamt. Mikrozensus - Fragen zur Gesundheit - Körpermaße der Bevölkerung; 2017 [online]. 2018 [Zugriff: 27.09.2019]. URL: https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Publikationen/Downloads-Gesundheitszustand/koerpermasse-5239003179004.pdf?__blob=publicationFile&v=4.