

Anlage 1 zur Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 Satz 1 SGB V zwischen dem GKV-Spitzenverband und der Aegerion Pharmaceuticals GmbH zum Arzneimittel Myalepta® (Wirkstoff: Metreleptin):

Myalepta® (Wirkstoff: Metreleptin) ist ab dem 01.10.2019 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheit von der Prüfungsstelle und dem gemeinsamen Beschwerdeausschuss (§ 106c SGB V) ausschließlich in Anwendungsgebieten mit Zusatznutzen laut G-BA Beschluss vom 22.03.2019 anzuerkennen, solange Aegerion Myalepta® in Deutschland vertreibt. Weitere Anwendungsgebiete oder Erweiterungen des Anwendungsgebietes von Myalepta® sind hiervon nicht umfasst.

Der Gemeinsame Bundesausschuss hat den Zusatznutzen mit Beschluss vom 22.03.2019 in den zugelassenen Anwendungsgebieten wie folgt bewertet:

- a) Erwachsene und Kinder ab 2 Jahren mit bestätigter angeborener generalisierter Lipodystrophie (Berardinelli-Seip-Syndrom) oder erworbener generalisierter Lipodystrophie (Lawrence-Syndrom).

Bewertung des G-BA:

Myalepta® ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens. Daher gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird als nicht quantifizierbar eingestuft.

- b) Erwachsene und Kinder ab 12 Jahren mit bestätigter familiärer oder erworbener partieller Lipodystrophie (Barraquer-Simons-Syndrom), bei denen durch Standardbehandlungen keine angemessene Einstellung des Stoffwechsels erreicht werden konnte.

Bewertung des G-BA:

Myalepta® ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens. Daher gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens wird als nicht quantifizierbar eingestuft.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Metreleptin soll nur durch in der Diagnose und Behandlung von Stoffwechselstörungen erfahrene Ärzte erfolgen.

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) muss der pharmazeutische Unternehmer Schulungsmaterialien für das medizinische Fachpersonal sowie für die Patienten und Pflegepersonen zur Verfügung stellen. Das Schulungsmaterial enthält Anweisungen zum Umgang mit den durch Metreleptin bedingten möglichen Nebenwirkungen, insbesondere zu allergischen Reaktionen, Hypoglykämien und schweren Infektionen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Dies bedeutet, dass es aufgrund der Seltenheit der Krankheit nicht möglich war, vollständige Informationen über das Arzneimittel zu erlangen. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit gilt nicht bei der Anwendung von Myalepta® außerhalb der gesetzlich bestimmten Bedingungen (im Rahmen eines nicht bestimmungsgemäßen Gebrauchs, „off label use“).

Die Ärzte sind hiermit nicht von den einzuhaltenden Vorgaben aus § 12 SGB V und § 9 der Arzneimittelrichtlinie entbunden.