

Anlage zur Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 Satz 1 SGB V zwischen dem GKV-Spitzenverband und BioMarin International Ltd. zum Arzneimittel Roctavian (Wirkstoff: Valoctocogen Roxaparvovec) bezüglich der Anerkennung einer Praxisbesonderheit

Die Verordnungen von Roctavian (Wirkstoff: Valoctocogen Roxaparvovec) sind ab dem 15.12.2023 nach § 130b Abs. 2 SGB V von der Prüfungsstelle im Anwendungsgebiet mit einem Zusatznutzen laut G-BA-Beschluss vom 16.03.2023 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheiten anzuerkennen, und nur solange BioMarin International Ltd. Roctavian in Deutschland vertreibt.

Die Praxisbesonderheit gilt ausschließlich für:

G-BA Beschluss vom 16.03.2023 mit Geltungsbeginn der Praxisbesonderheit ab 15.12.2023.

Das Anwendungsgebiet mit Zusatznutzen lautet:

Roctavian wird angewendet in der Behandlung von schwerer Hämophilie A (kongenitalem Faktor-VIII-Mangel) bei erwachsenen Patienten ohne Faktor-VIII-Inhibitoren in der Vorgeschichte und ohne nachweisbare Antikörper gegen Adeno-assoziiertes Virus Serotyp 5 (AAV5).

Bewertung des G-BA:

Roctavian ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens. Daher gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens und die Aussagekraft der Nachweise wird als Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen eingestuft, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Weitere Anwendungsgebiete oder Patientengruppen von Roctavian sind hiervon nicht umfasst.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Mit G-BA Beschluss vom 16.06.2022 wurde die Erforderlichkeit eines Beschlusses nach § 136a Abs. 5 SGB V gemäß 9. Kapitel § 5 Satz 2 VerfO für die Anwendung des ATMP Roctavian im Anwendungsgebiet „Behandlung der Hämophilie A“ festgestellt. Sobald entsprechende Regelungen zu Maßnahmen zur Qualitätssicherung gemäß ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie in Kraft treten, sind diese zu beachten. Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Roctavian soll durch in der Therapie der Hämophilie und/oder Blutungsstörungen erfahrene Ärztinnen und Ärzte erfolgen.

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers Informationsmaterial für medizinisches Fachpersonal und für Patientinnen und Patienten sowie eine Patientenkarte zur Verfügung zu stellen. Das Informationsmaterial sowie die Patientenkarte enthalten

insbesondere Anweisungen bezüglich des unter Roctavian erhöhten Risikos der Lebertoxizität, horizontalen Übertragung und Keimbahnübertragung, Entwicklung von Faktor-VIII-Inhibitoren, Malignität in Verbindung mit einer Integration des Vektorgenoms sowie Thromboembolie.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

Mit Beschluss vom 02.02.2023 fordert der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) eine anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD) und Auswertungen nach § 35a Abs. 3b Satz 1 SGB V für den Wirkstoff Valoctocogen Roxaparvovec: Gleichzeitig wurde die Versorgungsbefugnis nach § 35a Abs. 3b Satz 2 SGB V auf solche Leistungserbringer beschränkt, die an der geforderten anwendungsbegleitenden Datenerhebung mitwirken.

Die Anerkennung der Verordnung von Roctavian als Praxisbesonderheit nach dieser Vereinbarung kann nicht mehr erfolgen, wenn vor der Verordnung ein weiterer G-BA-Beschluss veröffentlicht wird, der feststellt, dass für Roctavian ein Zusatznutzen nicht belegt ist oder als nicht belegt gilt oder der Nutzen von Roctavian geringer ist als der Nutzen der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die Verordnungssteuerung der Krankenkassen sowie die Versorgungsverträge bleiben von dieser Praxisbesonderheit unberührt.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit gilt nicht bei der Anwendung von Roctavian 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.