**Anlage zur Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 Satz 1 SGB V zwischen dem GKV-Spitzenverband und Takeda GmbH zum Arzneimittel Adzynma (Wirkstoff: rADAMTS13) bezüglich der Anerkennung einer Praxisbesonderheit**

Die Verordnungen von Adzynma (Wirkstoff: rADAMTS13) sind ab dem 01.01.2026 und längstens bis zum Ablauf des Patent- und Unterlagenschutzes nach § 130b Abs. 2 SGB V von der Prüfungsstelle in den Patientengruppen mit einem Zusatznutzen laut G-BA-Beschluss vom 20.02.2025 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheiten anzuerkennen, und nur solange Takeda Adzynma in Deutschland vertreibt.

Die Praxisbesonderheit gilt ausschließlich für:

G-BA Beschluss vom 20.02.2025 mit Geltungsbeginn der Praxisbesonderheit ab 01.01.2026
Die Patientengruppen mit Zusatznutzen lauten:

a) Erwachsene und Kinder mit kongenitaler thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (cTTP), die rADAMTS13 als prophylaktische Behandlung erhalten

   Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise von rADAMTS13:
   Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

b) Erwachsene und Kinder mit kongenitaler thrombotisch-thrombozytopenischer Purpura (cTTP), die rADAMTS13 zur Akutbehandlung erhalten

   Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise von rADAMTS13:
   Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Bewertung des G-BA: Adzynma 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 in Patientengruppe a) sowie in Patientengruppe b) als Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen eingestuft, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Weitere Anwendungsgebiete oder Patientengruppen von Adzynma sind hiervon nicht umfasst.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit rADAMTS13 muss durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit hämatologischen Erkrankungen erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen. Gemäß der Vorgaben der EMA hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers allen Patientinnen und Patienten sowie ärztlichem Fachpersonal, die rADAMTS13 anwenden bzw. verschreiben, geeignetes Schulungsmaterial auszuhändigen, welches im Wesentlichen die für die jeweiligen Adressaten geeigneten Informationen zum Umgang mit den unter rADAMTS13 möglicherweise auftretenden Überempfindlichkeitsreaktionen im häuslichen Gebrauch von rADAMTS13 umfasst.
Dieses Arzneimittel wurde unter „außergewöhnlichen Umständen“ zugelassen. Die EMA wird alle neuen Informationen, die verfügbar werden, jährlich bewerten, und falls erforderlich, wird die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels aktualisiert werden.

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

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