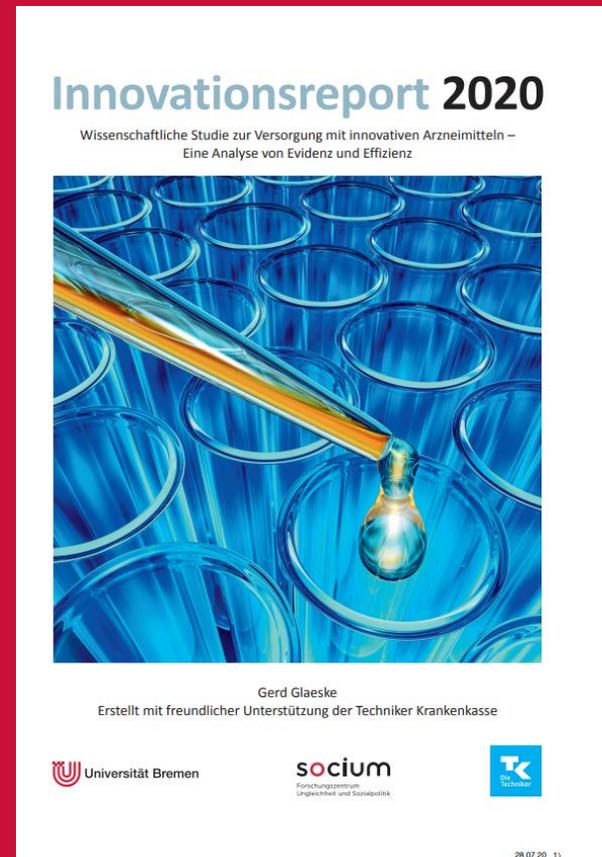


Auswertungsergebnisse von Routinedaten der Techniker Krankenkasse (TK) aus den Jahren 2017 bis 2018

Gerd Glaeske (Hrsg.)

Kein Interessenkonflikt im Sinne der Uniform Requirements for
Manuscripts submitted to Biomedical Journals der ICMJE

Erstellt mit freundlicher Unterstützung der
Techniker Krankenkasse (TK)



Rang	Präparat (Hersteller) (Wirkstoff)	Anwendungsgebiet	Umsatz 2019 in Mio. €	Gegenüber 2018 in %
1	Eliquis® (Bristol-Myers Squibb/Pfizer) (Apixaban)	Antikoagulanzen	650,2	+25,4
2	Revlimid® (Celgene Europe) (Lenalidomid)	z. B. Myelom	536,7	+22,7
3	Humira® (Abbott/Abbvie) (Adalimumab)	z. B. Rheumatische Arthritis	531,0	-32,8
4	Xarelto® (Bayer) (Rivaroxaban)	Antikoagulanzen	409,3	-0,9
5	Zytiga® (Janssen-Cilag) (Abirateronacetat)	Prostatakrebs	335,3	+23,9
6	Imbruvica® (Janssen-Cilag) (Ibrutinib)	Blutkrebs	288,5	+42,8
7	Cosentyx® (Novartis) (Secukinumab)	z. B. Schuppenflechte	282,1	+14,7
8	Xtandi® (Astellas) (Enzalutamid)	Prostatakrebs	266,4	+11,6
9	Gilenya® (Novartis) (Fingolimod)	MS	266,0	+1,5
10	Eylea® (Bayer) (Aflibercept)	Makuladegeneration	248,1	+19,9

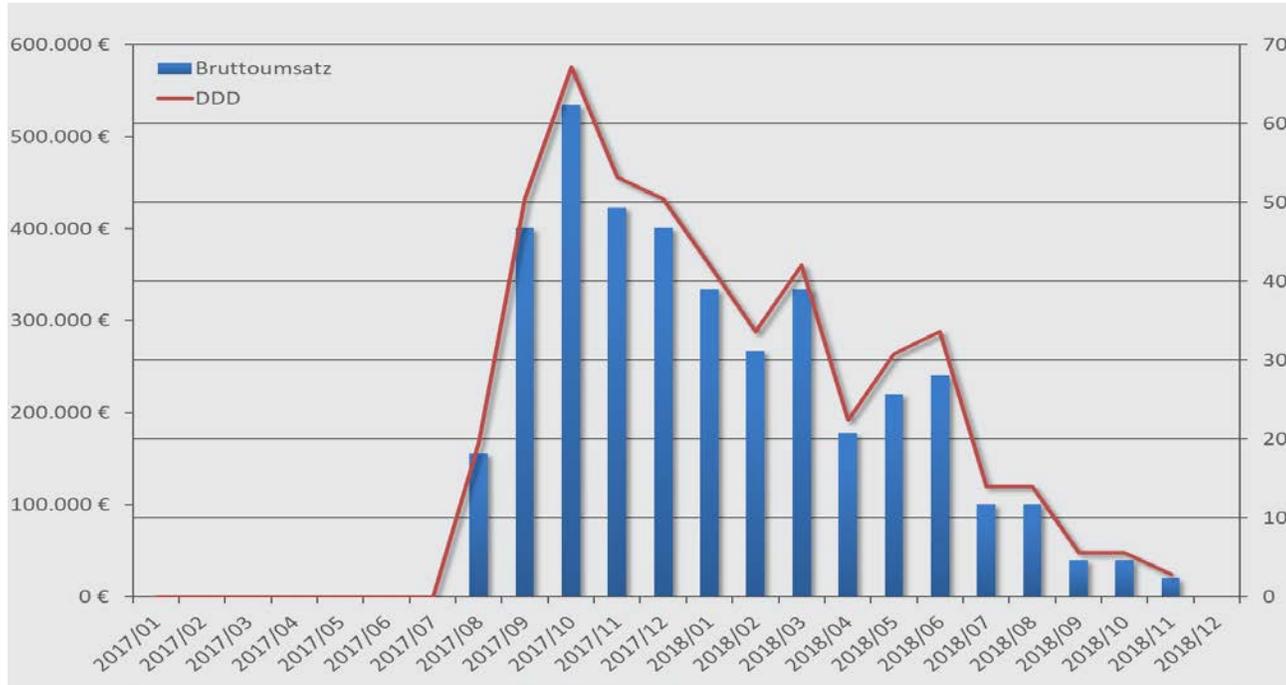
11	Lucentis® (Novartis) (Ranibizumab)	Makuladegeneration	244,9	+6,8
12	Stelara® (Janssen-Cilag) (Ustekinumab)	entzündliche Erkrankungen, z. B. Plaque-Psoriasis	240,6	+28,3
13	Lixiana® (Daiichi Sankyo Europe) (Edoxaban)	Antikoagulanzen	239,4	+49,3
14	Ibrance® (Pfizer) (Palbociclib)	Brustkrebs	237,9	+7,5
15	Jakavi® (Novartis) (Ruxolitinib)	Blutkrebs	223,6	+9,9
16	Tecfidera® (Biogen) (Dimethylfumarat)	MS	210,8	-4,8
17	Copaxone® (Teva) (Glatirameracetat)	MS	196,2	-11,7
18	Benepali® (Biogen) (Etanercept)	z. B. Rheumatische Arthritis	188,6	+11,7
19	Lantus® (Sanofi-Aventis) (Insulin glargin)	Diabetes mellitus	179,5	-5,6
20	Enbrel® (Pfizer) (Etanercept)	z. B. Rheumatische Arthritis	168,9	-30,4
	Gesamtmarkt		35.173,25	+6,1

Quelle: nach IMS Health, 2019

Untersuchte ATC-Gruppen nach Häufigkeit		
L01	Antineoplastische Mittel	10 (32 %)
L04	Immunsuppressiva	7 (23 %)
A04	Antiemetika und Mittel gegen Übelkeit	2 (7 %)
B02	Antihämorrhagika	2 (7 %)
J05	Antivirale Mittel zur systemischen Anwendung	2 (7 %)
A05	Gallen- und Lebertherapie	1 (3 %)
D05	Antipsoriatika	1 (3 %)
D11	Andere Dermatika	1 (3 %)
H05	Calciumhomöostase	1 (3 %)
J07	Impfstoffe	1 (3 %)
M09	Andere Mittel gegen Störungen des Muskel- und Skelettsystems	1 (3 %)
R03	Mittel bei obstruktiven Atemwegserkrankungen	1 (3 %)
S01	Ophthalmika	1 (3 %)
Gesamt		31

Vosevi® (Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir) bei chronischer Hepatitis C

Verordnete Tagesdosen (DDD) und Bruttoumsätze von Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir nach Monaten (2017 – 2018)

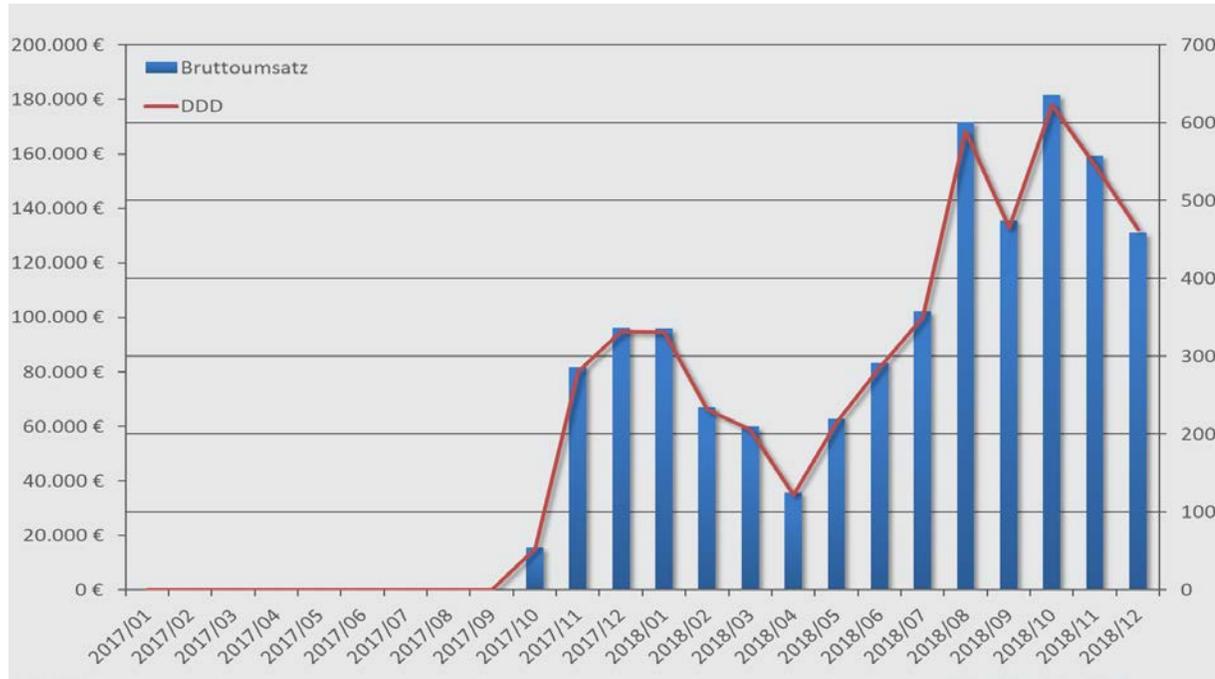


Verfügbare Therapien	(Zusatz-)Nutzen	Kosten
<ul style="list-style-type: none"> ● weitere Wirkstoffkombination zur Behandlung der chronischen Hepatitis C ohne neues Wirkprinzip 	<ul style="list-style-type: none"> ● kein ZN unabhängig vom GT des Erregers bzw. vom Zirrhosestatus 	<ul style="list-style-type: none"> ● teurer als zVT

Wirkstoff	Gesamt-Score
Baricitinib	●○○
Cladribin	●○○
Dimethylfumarat	●○○
Etelcalcetid	●○○
Glecaprevir/Pibrentasvir	●○○
Lonococog alfa	●○○
Meningokokken-B-Impfstoff	●○○
Nabilon	●○○
Niraparib (O)	●○○
Nonacog beta pegol	●○○
Obeticholsäure (O)	●○○
Ribociclib	●○○
Rolapitant	●○○
Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir	●○○
Tivozanib	●○○
Tofacitinib	●○○
Atezolizumab	○●○
Avelumab (O bis Oktober 2019)	○●○
Brodalumab	○●○
Cenegermin (O)	○●○
Ixazomib (O)	○●○
Reslizumab	○●○
Sarilumab	○●○
Alectinib	○○●
Dupilumab	○○●
Guselkumab	○○●
Inotuzumab Ozogamicin (O)	○○●
Ixekizumab	○○●
Midostaurin (O)	○○●
Nusinersen (O)	○○●
Venetoclax	○○●

Bavencio® (Avelumab) bei Merkelzellkarzinom, Nierenzellkarzinom

Verordnete Tagesdosen (DDD) und Bruttoumsätze von Avelumab nach Monaten (2017 – 2018)

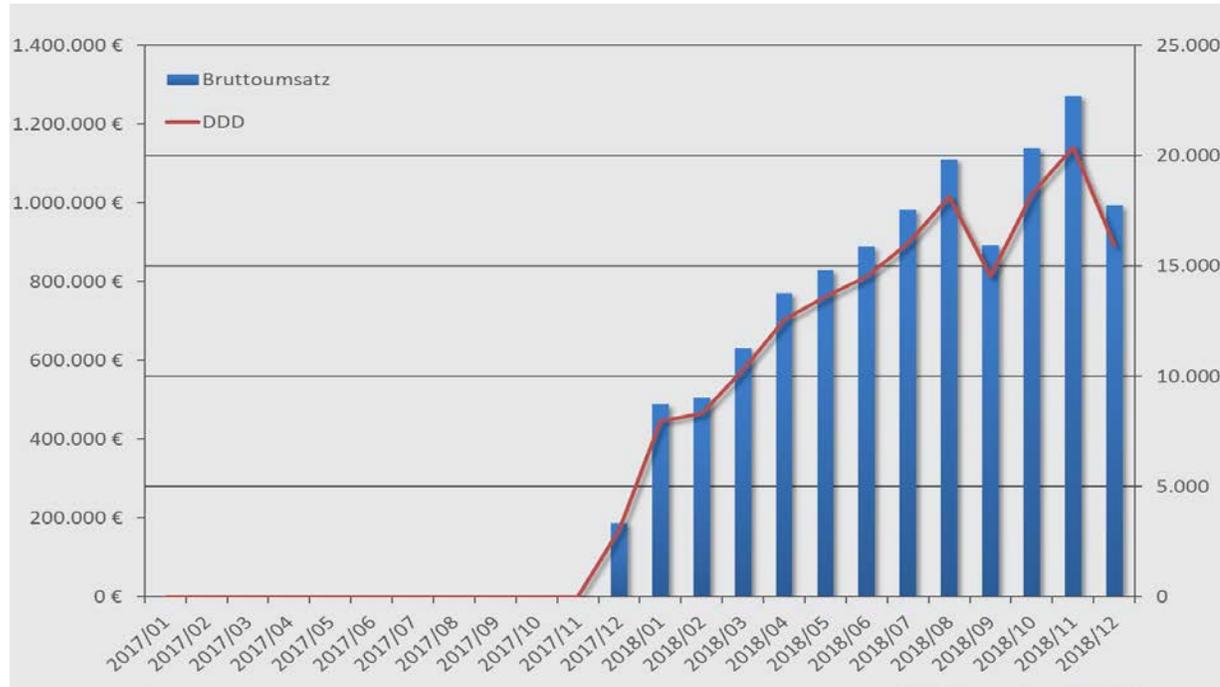


Verfügbare Therapien	(Zusatz-)Nutzen	Kosten
keine abschließende Bewertung möglich, Daten zum <i>Overall Survival</i> noch nicht „belastbar“	G-BA-Beschluss: ZN nicht quantifizierbar	kein Kostenvergleich, da <i>Orphan</i> -Arzneimittel zum Zeitpunkt der ersten Bewertung

Wirkstoff	Gesamt-Score
Baricitinib	●○○
Cladribin	●○○
Dimethylfumarat	●○○
Etelcalcetid	●○○
Glecaprevir/Pibrentasvir	●○○
Lonococog alfa	●○○
Meningokokken-B-Impfstoff	●○○
Nabilion	●○○
Niraparib (O)	●○○
Nonacog beta pegol	●○○
Obeticholsäure (O)	●○○
Ribociclib	●○○
Rolapitant	●○○
Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir	●○○
Tivozanib	●○○
Tofacitinib	●○○
Atezolizumab	○●○
Avelumab (O bis Oktober 2019)	○●○
Brodalumab	○●○
Cenegermin (O)	○●○
Ixazomib (O)	○●○
Reslizumab	○●○
Sarilumab	○●○
Alectinib	○○●
Dupilumab	○○●
Guselkumab	○○●
Inotuzumab Ozogamicin (O)	○○●
Ixekizumab	○○●
Midostaurin (O)	○○●
Nusinersen (O)	○○●
Venetoclax	○○●

Dupixent® (Dupilumab) bei mittelschwerer oder schwerer Neurodermitis

Verordnete Tagesdosen (DDD) und Bruttoumsätze von Dupilumab nach Monaten (2017 – 2018)



Verfügbare Therapien	(Zusatz-)Nutzen	Kosten
<ul style="list-style-type: none"> erstes Biologikum zur Behandlung mittelschwerer bis schwerer Neurodermitis 	<ul style="list-style-type: none"> G-BA: Beträchtlicher ZN von Dupilumab zur Behandlung von mittelschwerer bis schwerer Neurodermitis bei erwachsenen Patienten, die für eine systemische Therapie in Betracht kommen/ Nicht quantifizierbarer ZN bei Jugendlichen zwischen 12 und 17 Jahren 	<ul style="list-style-type: none"> teurer als die meisten Therapien

Wirkstoff	Gesamt-Score
Baricitinib	●○○
Cladribin	●○○
Dimethylfumarat	●○○
Etelcalcetid	●○○
Glecaprevir/Pibrentasvir	●○○
Lonococog alfa	●○○
Meningokokken-B-Impfstoff	●○○
Nabilon	●○○
Niraparib (O)	●○○
Nonacog beta pegol	●○○
Obeticholsäure (O)	●○○
Ribociclib	●○○
Rolapitant	●○○
Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir	●○○
Tivozanib	●○○
Tofacitinib	●○○
Atezolizumab	○●○
Avelumab (O bis Oktober 2019)	○●○
Brodalumab	○●○
Cenegermin (O)	○●○
Ixazomib (O)	○●○
Reslizumab	○●○
Sarilumab	○●○
Alectinib	○○●
Dupilumab	○○●
Guselkumab	○○●
Inotuzumab Ozogamicin (O)	○○●
Ixekizumab	○○●
Midostaurin (O)	○○●
Nusinersen (O)	○○●
Venetoclax	○○●





Leitlinienaufnahme und Schadensmeldungen



Wirkstoff	pU	Bewertung			Eingang in Leitlinien (nur bei mind. einer positiven Empfehlung)	Besonderheiten
		Verfügbare Therapien	(Zusatz-) Nutzen	Kosten		
Baricitinib	Lilly	●○○	●○○	○●○	DGRh, NICE, EULAR (eine von mehreren Therapieoptionen)	Blaue Hand
Cladribin	Merck	●○○	●○○	○●○	NICE, ECTRIMS/EAN (eine von mehreren Therapieoptionen)	Blaue Hand
Dimethylfumarat	Almirall Hermal GmbH	●○○	●○○	○●○		
Etelcalcetid	Amgen	●○○	●○○	○●○		
Glecaprevir/ Pibrentasvir	AbbVie	●○○	●○○	○●○	DGVS, EASL	Erweiterung der Zulassung für Jugendliche ab einem Alter von zwölf Jahren
Lonocetocog alfa	CSL Behring	●○○	●○○	○●○		
Nabilon	AOP Orphan Pharmaceuticals AG	○●○	●○○	●○○		
Niraparib (O)	TESARO (Anbieter in D: GlaxoSmith-Kline)	○●○	●○○	○○○	ESMO, NCCN, NICE, DGHO	G-BA-Beschluss befristet fürs Orphan-Arzneimittel; danach Überschreitung der 50-Mio-Euro-Grenze und Neubewertung
Nonacog beta pegol	Novo Nordisk	●○○	●○○	○●○		
Obeticholsäure (O)	Intercept Pharma Deutschland GmbH	○○●	●○○	○○○		RHB
Ribociclib	Novartis	●○○	●○○	●○○	NICE, ESMO (eine von mehreren Therapieoptionen)	Erweiterung der Zulassung auf prä-/perimenopausale Frauen bzw. Kombination mit Fulvestrant November 2018 G-BA mehrere Beschlüsse, teilweise befristet, neue Beschlussfassung August 2020

Wirkstoff	pU	Bewertung			Eingang in Leitlinien (nur bei mind. einer positiven Empfehlung)	Besonderheiten
		Verfügbare Therapien	(Zusatz-) Nutzen	Kosten		
Rolapitant	TESARO	●○○	●○○	○○○		
Sofosbuvir/ Velpatasvir/ Voxilaprevir	Gilead Sciences	●○○	●○○	●○○	DGVS, EASL	
Tivozanib	EUSA Pharma	●○○	●○○	○○●		
Tofacitinib	Pfizer	●○○	●○○	○●○	rheumatoide Arthritis: DGRh, NICE, EULAR (eine von mehreren Therapieoptionen) Psoriasis-Arthritis: NICE (eine von mehreren Therapieoptionen), Colitis ulcerosa: DGVS, NICE, ACG, AGA (eine von mehreren Therapieoptionen)	Erweiterung der Zulassung Psoriasis-Arthritis (Juni 2018), Colitis ulcerosa (Juli 2018). G-BA mehrere Beschlüsse. Blaue Hand, 3 RHB
Alectinib	Roche	○○●	○●○	○●○	ESMO, NCCN, NICE, DGHO	Eine Indikationserweiterung; in zwei Indikationen bewertet;
Atezolizumab	Roche	○●○	○●○	○●○		
Avelumab (O bis Oktober 2019)	Merck Serono	○●○	○●○	○○○	mMCC: NCCN, NICE, DKG; RCC: NCCN, DGHO	bedingte Zulassung (CMA); eine Indikationserweiterung; zweite und Bewertung (neue Indikation bzw. Aufhebung des Orphan-Status) stehen noch aus); Blaue Hand
Brodalumab	Leo Pharma	●○○	○●○	○●○	NICE, AAD (eine von mehreren Therapieoptionen)	Drug Safety Mail: möglicher Zusammenhang mit Verschlechterung/Erstmanifestation CED
Cenegemrin (O)	Dompé Farmaceutici S.p.A.	○○●	○●○	○○○		
Ixazomib (O)	Takeda	○●○	○●○	○○○	ESMO, NCCN, ASCO, NICE, DGHO	bedingte Zulassung (CMA); G-BA-Beschluss befristet;

Wirkstoff	pU	Bewertung			Eingang in Leitlinien (nur bei mind. einer positiven Empfehlung)	Besonderheiten
		Verfügbare Therapien	(Zusatz-) Nutzen	Kosten		
Meningokokken-B-Impfstoff	Pfizer	●○○	○●○	●○○	STIKO-Empfehlung nur noch für Risikogruppen ab 10 Jahren	
Reslizumab	Teva	●○○	○●○	○●○		
Sarilumab	Sanofi	●○○	○●○	○●○	DGRh, NICE, EULAR (eine von mehreren Therapieoptionen)	Blaue Hand
Dupilumab	Sanofi Aventis Gruppe	○○●	○○●	●○○		
Guselkumab	Janssen	○●○	○○●	○●○	NICE, AAD (eine von mehreren Therapieoptionen)	
Inotuzumab Ozogamicin (O)	Pfizer	○○●	○○●	○○○		
Ixekizumab	Lilly	○●○	○○●	○●○	NICE, AAD (eine von mehreren Therapieoptionen)	Erweiterung der Zulassung auf Psoriasis-Arthritis im Dezember 2017; G-BA zwei Beschlüsse; Drug Safety Mail: möglicher Zusammenhang mit Verschlechterung/Erstmanifestation CED
Midostaurin (O)	Novartis	○○●	○○●	○○○		
Nusinersen (O)	Biogen	○○●	○○●	○○○	NICE (nur für einige SMA-Typen; befristet)	G-BA-Beschluss befristet bis Juli 2024, 1 RHB
Venetoclax	AbbVie	○●○	○○●	○●○		

Gesamt-Score Innovationsbewertung

Verfügbare Therapien	(Zusatz-)Nutzen	Kosten	Gesamt-Score
Baricitinib Brodalumab Cladribin Dimethylfumarat Etelcalcetid Glecaprevir/Pibrentasvir Lonococog alfa Meningokokken-B-Impfstoff Nonacog beta pegol Reslizumab Ribociclib Rolapitant Sarilumab Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir Tivozanib Tofacitinib	Baricitinib Cladribin Dimethylfumarat Etelcalcetid Glecaprevir/Pibrentasvir Lonococog alfa Nabilon Nonacog beta pegol Ribociclib Rolapitant Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir Tivozanib Tofacitinib (Rheumatoide Arthritis und Colitis ulcerosa)	Dupilumab Meningokokken-B-Impfstoff Nabilon Ribociclib Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir	Baricitinib (1) Cladribin (1) Dimethylfumarat (1) Etelcalcetid (1) Glecaprevir/Pibrentasvir (1) Lonococog alfa (1) Meningokokken-B-Impfstoff (2) Nabilon (1) Nonacog beta pegol (1) Ribociclib (0) Rolapitant (0) Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir (0) Tofacitinib (1) Tivozanib (2)
Atezolizumab Guselkumab Ixekizumab Nabilon Venetoclax	Alectinib Atezolizumab Brodalumab Meningokokken-B-Impfstoff Reslizumab Sarilumab Tofacitinib (Psoriasis-Arthritis)	Alectinib Atezolizumab Baricitinib Brodalumab Cladribin Dimethylfumarat Etelcalcetid Glecaprevir/Pibrentasvir Guselkumab Ixekizumab Lonococog alfa Nonacog beta pegol Reslizumab Sarilumab Tofacitinib Venetoclax	Atezolizumab (4) Brodalumab (3) Reslizumab (3) Sarilumab (3)
Alectinib Dupilumab	Dupilumab Guselkumab Ixekizumab Venetoclax	Tivozanib	Alectinib (5) Dupilumab (6) Guselkumab (6) Ixekizumab (6) Venetoclax (6)

14

4

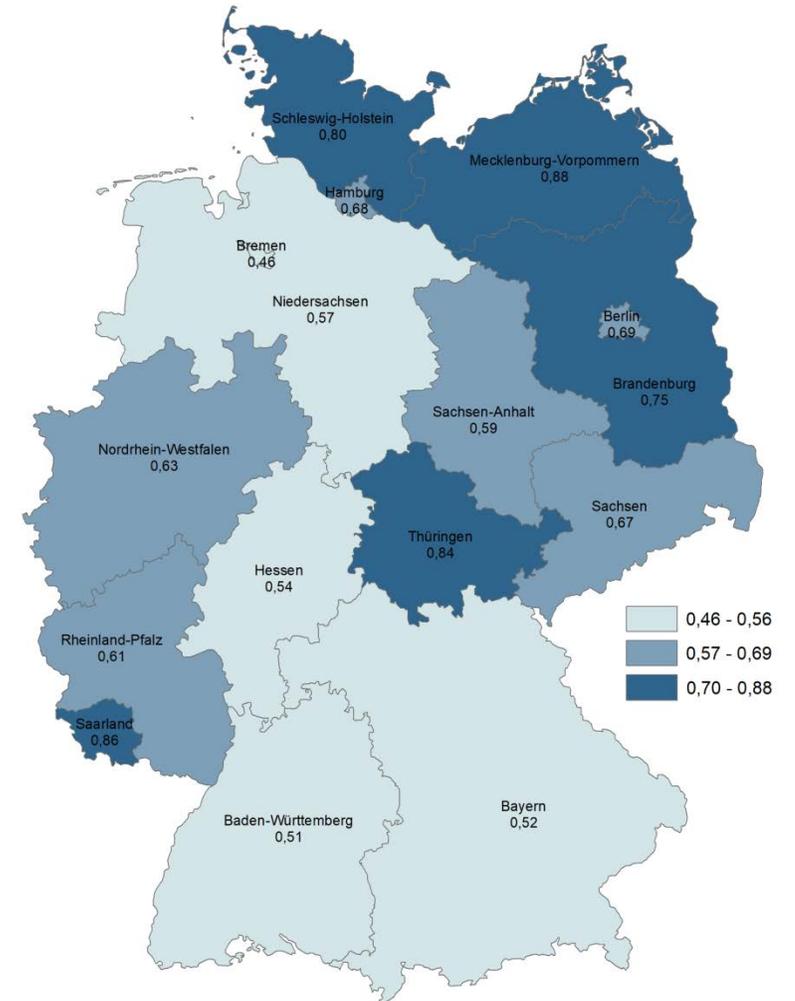
5

Gesamt-Score Innovationsbewertung mit *Orphan*-Zulassung

Verfügbare Therapien	(Zusatz-)Nutzen	Kosten	Gesamt-Score	
	Niraparib Obeticholsäure		Niraparib (1) Obeticholsäure (2)	2
Avelumab Ixazomib Niraparib	Avelumab Cenegermin Ixazomib		Avelumab (3) Cenegermin (4) Ixazomib (3)	3
Cenegermin Inotuzumab Ozogami- cin Midostaurin Nusinersen Obeticholsäure	Inotuzumab Ozogami- cin Midostaurin Nusinersen		Inotuzumab Ozogami- cin (6) Midostaurin (6) Nusinersen (6)	3

Verordnungsprävalenz der neuen Wirkstoffe des Jahres 2017 ohne Zusatznutzen („rote Ampel“) für TK-Versicherte in Promille nach Bundesländern (nur Verordnungen im Jahr 2018)

Wirkstoff Präparat	Indikation	Gesamt-Score	G-BA Nutzenbewertung
Baricitinib Olumiant®	Rheumatoide Arthritis	● ○ ○	ZN nicht belegt (4/4)
Cladribin Mavenclad®	Multiple Sklerose	● ○ ○	ZN nicht belegt (2/2)
Dimethylfumarat Skilarence®	Psoriasis vulgaris	● ○ ○	ZN nicht belegt (2/2)
Etelcalcetid Parsabiv®	sek. Hyperparathyreoidismus	● ○ ○	ZN nicht belegt (1/1)
Glecaprevir/Pibrentasvir Maviret®	Chronische Hepatitis C	● ○ ○	ZN nicht belegt (9/9)
Lonocetog alfa Afstyla®	Hämophilie A	● ○ ○	ZN nicht belegt (1/1)
Meningokokken-B-Impfstoff Trumenba®	Meningokokken-Impfstoff	● ○ ○	keine NBW
Nabilon Canemes®	Chemotherapiebedingte Emesis und Nausea	● ○ ○	keine NBW
Niraparib (O) Zejula®	Karzinom der Ovarien oder der Tuben, primäre Peritonealkarzinose	● ○ ○	ZN nicht belegt (1/1)
Nonacog beta pegol Refixia®	Hämophilie B	● ○ ○	ZN nicht belegt (1/1)
Obeticholsäure (O) Ocaliva®	Primäre biliäre Cholangitis	● ○ ○	ZN nicht quantifizierbar (1/1)
Ribociclib Kisquali®	HR-positives, HER2-negatives fortgeschrittenes Mammakarzinom	● ○ ○	ZN nicht belegt (16/16)
Rolapitant Varuby®	Prävention von Chemotherapie-induziertem Erbrechen	● ○ ○	ZN nicht belegt (2/2)
Sofosbuvir/Velpatasvir/Voxilaprevir Vosevi®	Chronische Hepatitis C	● ○ ○	ZN nicht belegt (6/6)
Tivozanib Fotivda®	Nierenzellkarzinom	● ○ ○	ZN nicht belegt (3/3)
Tofacitinib Xeljanz®	Rheumatoide Arthritis	● ○ ○	ZN nicht belegt (7/8) Anhaltspunkt für geringen ZN (1/8)



Wirkstoff Präparat	Indikation	Gesamt-Score	G-BA Nutzenbewertung
Atezolizumab Tecentriq®	Urothelkarzinom, NSCLC, ES-SCLC, Mammakarzinom	○●○	Anhaltspunkt für geringen ZN (2/10) Anhaltspunkt für beträchtl. ZN (1/10) Anhaltspunkt für nicht quantifizierb. ZN (1/10) ZN nicht belegt (6/10)
Avelumab (O bis Oktober 2019) Bavencio®	Merkelzellkarzinom, Nierenzellkarzinom	○●○	nicht quantifizierbarer ZN (2/4) ZN nicht belegt (1/4) Anhaltspunkt für beträchtl. ZN (1/4)
Brodalumab Kyntheum®	Plaque-Psoriasis	○●○	ZN nicht belegt (1/2) Hinweis auf nicht quantifizierbaren ZN (1/2)
Cenegermin (O) Oxervate®	Behandlung von mittelschwerer oder schwerer neurotropher Keratitis	○●○	ZN nicht quantifizierbar (1/1)
Ixazomib (O) Ninlaro®	Multiples Myelom	○●○	nicht quantifizierbarer ZN (1/1)
Reslizumab Cinquaero®	Add-on schweres eosinophiles Asthma	○●○	ZN nicht belegt (1/2) Anhaltspunkt für einen geringen ZN (1/2)
Sarilumab Kevzara®	Rheumatoide Arthritis	○●○	ZN nicht belegt (3/4) Anhaltspunkt für einen beträchtl. ZN (1/4)

Wirkstoff Präparat	Indikation	Gesamt-Score	G-BA Nutzenbewertung
Alectinib Alecensa®	nicht-kleinzelliges Lungenkarzinom	○○●	Anhaltspunkt für geringen ZN (1/3) ZN nicht belegt (1/3) Anhaltspunkt für nicht-quantifizierbaren ZN (1/3)
Dupilumab Dupixent®	mittelschwere oder schwere Neurodermitis	○○●	Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren ZN (1/2) Hinweis für einen beträchtlichen ZN (1/2)
Guselkumab Tremfya®	Plaque-Psoriasis	○○●	Hinweis auf beträchtl. ZN (1/2) Beleg für beträchtl. ZN (1/2)
Inotuzumab Ozogamicin (O) Besponsa®	Akute lymphatische Leukämie	○○●	geringes Ausmaß des ZN (1/1)
Ixekizumab Taltz®	Plaque-Psoriasis und Psoriasis-Arthritis	○○●	Hinweis auf einen beträchtl. ZN (1/5) Hinweis auf einen geringen ZN (1/5) ZN nicht belegt (2/5) Anhaltspunkt für einen geringen ZN (1/5)
Midostaurin (O) Rydapt®	Akute myeloische Leukämie, systemische Mastozytose	○○●	beträchtl. ZN (1/2) nicht quantifizierbarer ZN (1/2)
Nusinersen (O) Spinraza®	Spinale Muskelatrophie	○○●	erhebl. ZN (1/4) beträchtl. ZN (1/4) nicht quantifizierbarer ZN (2/4)
Venetoclax Venclyxto®	Chronische lymphatische Leukämie	○○●	ZN nicht belegt (4/5) Hinweis für einen geringen ZN (1/5)

Das Ergebnis insgesamt für die 31 neuen Mittel 2017:

- 16 (52 %) x
- 7 (23 %) x
- 8 (25 %) x



- In Deutschland war bis zur kürzlichen Zulassung von Zolgensma[®] (Onasemnogen Apeparvovec) nur das im Juli 2017 eingeführte Nusinersen (Spinraza[®]) für die Therapie der 5q-assoziierten SMA zugelassen (Kapitel 4.22).
- Zolgensma[®] des pU AveXis– FDA-Zulassung Mai 2019, am 18. Mai 2020 bedingte EMA-Zulassung für Europa
- Kosten pro Dosis 2,1 Mio. US Dollar (etwa 1,9 Mio. Euro)
- Die Behandlung einiger betroffener Kinder **vor der Zulassung in Europa** trotz Spinraza[®] (Presseunterstützung z. B. für „Baby John“) und die Verlosung von weltweit 100 Gaben Zolgensma[®] (als Härtefallprogramm vom PEI akzeptiert) machten besondere Schlagzeilen.
- Weitere Wirkstoffe, die sich im Zulassungsverfahren befinden bzw. getestet werden: Risdiplam (Roche), Branaplam (Novartis)

Klinische Einteilung der Spinalen Muskelatrophie

SMA Typ	Häufigkeit bei SMA-Erkrankten	Alter bei Erkrankungsbeginn	Beste je erreichte Funktion	Todesalter bei natürlichem Verlauf	Typische Anzahl der SMN2-Kopien
Typ 0	sehr selten	prenatal/fetal	keine	< 6 Monate	1
Typ I (schwer) Werdnig-Hoffmann	Etwa 60 %	0-6 Monate	Sitzen nur mit Unterstützung	< 2 Jahre	1-3
Typ II	Etwa 20-30 %	7-18 Monate	Selbstständiges Sitzen	> 2 Jahre	2-3
Typ III (mild) Kugelberg-Welander	Etwa 10-20 %	> 18 Monate	Selbstständiges Laufen	Erwachsenenalter	3-4
Typ IV Adulte SMA	sehr selten	20-30 Jahre	Laufen	Normale Lebenserwartung	≥4

„Härtefallprogramm von 2020 (*Compassionate Use*) bei Zolgensma®

- Bei SMA als lebensbedrohliche Krankheit ist ein *Compassionate Use* („Anwendung aus Mitgefühl“) durch den pU schon vor der Zulassung möglich, wenn Daten zur Wirksamkeit und zu unerwünschten Wirkungen vorliegen.
- Das Mittel wird dann kostenfrei zur Verfügung gestellt (Arzneimittelgesetz/AMG § 21 Abs. 2), es muss aber abgewogen werden, ob der bisher bekannten Nutzen die möglichen oder bereits bekannten Risiken überwiegt.
- Die Behandlungskosten werden von den Krankenkassen bezahlt.
- Eine Preisgestaltung, die sowohl die Interessen der Pharmaunternehmen als auch die des Gesetzgebers und der Krankenkassen berücksichtigt, ist längst überfällig – die Preise müssen angemessen und zumutbar für ein Gesundheitssystem sein, so fordert es der § 25b im SGB V (Strategie z. B. Preisverhandlungen, Vereinbarungen von “Ratenzahlungen” oder Modellen, mit der Möglichkeit einer Rückerstattung durch den pharmazeutischen Unternehmer, wenn sich der Erfolg nicht einstellt).

- Als *Orphan Disease* gilt in Europa eine Krankheit, unter der maximal fünf Einwohner pro 10.000 Einwohner leiden.
- Die Verordnungen all dieser Mittel machen derzeit bereits etwa 1,5 % der Gesamtverordnungen in der GKV aus, führen aber aufgrund ihrer relativ hohen Preise zu einem Ausgabenanteil von rund 10 %.

