

ANLAGE 1 zur Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 Satz 1 SGB V zwischen dem GKV- Spitzenverband und PTC Therapeutics zum Arzneimittel Translarna™ (Wirkstoff: Ataluren) bezüglich der Anerkennung einer Praxisbesonderheit:

Translarna™ (Wirkstoff: Ataluren) ist seit dem 01.06.2017 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheit von der Prüfungsstelle und dem gemeinsamen Beschwerdeausschuss (§ 106c SGB V) ausschließlich im Anwendungsgebiet laut G-BA-Beschluss vom 01.12.2016 anzuerkennen. Diese Anerkennung steht unter der aufschiebenden Bedingung, dass PTC Therapeutics Translarna™ wieder in Deutschland in Verkehr bringt. Die Anerkennung steht gleichzeitig unter der auflösenden Bedingung, dass PTC Therapeutics Translarna™ danach in Deutschland wieder außer Vertrieb nimmt.

Ausmaß des Zusatznutzens: gering

Das Anwendungsgebiet lautet:

Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie infolge einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen bei gehfähigen Patienten im Alter ab 5 Jahren. Bei nicht gehfähigen Patienten wurde keine Wirksamkeit nachgewiesen. Das Vorliegen einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen ist durch Gentest nachzuweisen.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Ataluren soll nur durch in der Therapie von Patienten mit Duchenne/Becker Muskeldystrophie erfahrene Fachärzte erfolgen.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit gilt nicht bei der Anwendung von Translarna™ außerhalb des bestimmungsgemäßen Gebrauchs („Off label use“). Ein solcher nicht bestimmungsgemäßer Gebrauch liegt insbesondere vor bei einer Behandlung von nicht gehfähigen Patienten sowie von Kindern unter 5 Jahren.

Besondere Patientengruppen:

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Ataluren bei Patienten ab 65 Jahren ist bisher noch nicht erwiesen.

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Ataluren bei Patienten mit Nieren- und Leberfunktionsstörungen ist nicht erwiesen.