

NUB Antrag 2026/2027

Etranacogen dezaparvovec

Haben Sie externe Hilfestellungen zum Ausfüllen der Formblätter in Anspruch genommen? Wenn ja, bitte geben Sie an, welche Hilfestellung Sie in Anspruch genommen haben?

Dieser Antrag wurde durch die deutsche Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V. vorformuliert.

Angefragte Untersuchungs- und Behandlungsmethode

Etranacogen dezaparvovec

Alternative Bezeichnung(en) der Methode

Hemgenix®

Beruhet die neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode vollständig oder in Teilen auf dem Einsatz eines Medizinproduktes?

☒ **nein ankreuzen**

Wurde für diese angefragte Untersuchungs- und Behandlungsmethode von Ihrem Krankenhaus bereits vor dem 01.01.2026 eine Anfrage gemäß §6 Abs. 2 KHEntG an das InEK übermittelt?

☒ **hier ja ankreuzen, falls Sie zu den Häusern gehören, die im Vorjahr eine Anfrage gestellt haben, sonst nein ankreuzen. Bei ja Anfrage aus dem Vorjahr im Datenportal auswählen. Die Angabe der vorangegangenen Verfahrensnummer ist Pflicht, diese wird im Formular durch die Suchfunktion unterstützt**

Beschreibung der neuen Methode

Wirkweise:

Etranacogen dezaparvovec (Hemgenix®) ist ein Gentherapieprodukt, mit dem eine funktionstüchtige Kopie der kodierenden DNA-Sequenz des menschlichen Faktors IX in Hepatozyten eingebracht werden soll, um die Ursache der Hämophilie-B-Erkrankung zu beheben.

Etranacogen dezaparvovec besteht aus einer Codon-optimierten kodierenden DNA-Sequenz der natürlichen Padua-Variante des menschlichen Faktors IX (hFIXcoPadua), die unter Kontrolle des leberspezifischen LP1-Promoters steht und in den nicht replizierenden rekombinanten Adenovirus-assoziierten viralen Vektor des Serotyps 5 (AAV5) eingebaut ist (AAV5)). Nach einmaliger intravenöser Infusion gelangt Etranacogen dezaparvovec in die Hepatozyten, in denen die Vektor-DNA im Anschluss fast ausschließlich in episomaler Form vorliegt. Nach der Transduktion führt Etranacogen dezaparvovec zur langfristigen Expression des Faktor-IX-Padua-Proteins durch die Leber. Infolgedessen verbessert Etranacogen dezaparvovec den Mangel an funktionstüchtigem prokoagulatorischem Faktor-IX-Aktivität im Körper des Patienten mit Hämophilie B teilweise oder vollständig.

Evidenzlage:

Das primäre Wirksamkeitsziel für die Phase-III-Studie war die Beurteilung der Reduktion der annualisierten Blutungsrate (ABR) zwischen Monat 7 und 18 nach der Verabreichung, d. h. nach dem Erreichen einer stabilen Faktor-IX-Expression bis Monat 6 nach der Verabreichung, im Vergleich zum Lead-In-Beobachtungszeitraum. Zu diesem Zweck wurden alle Blutungsereignisse vor und nach der Therapie mit Etranacogen dezaparvovec verglichen. Die Wirksamkeitsergebnisse zeigten eine signifikante Überlegenheit von Etranacogen dezaparvovec gegenüber der kontinuierlichen routinemäßigen Faktor-IX-Prophylaxe und zudem eine – inzwischen über bereits 4 Jahre nachgewiesene – stabile Expression des Faktor-IX.

96 % aller Patienten in der Zulassungsstudie HOPE-B benötigten nach der Infusion der Gentherapie keine routinemäßige Faktor-IX-Prophylaxe mehr, was bei den Studienteilnehmern zu einer Verbesserung der

NUB-Musteranfrage

[Arbeitskreis DRG und Gesundheitsökonomie der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V.](#)

www.dgho.de

Seite 1 von 4

27-056 Etranacogen dezaparvovec NUB-Anfrage DGHO Stand 2026-10-06 final

NUB Antrag 2026/2027

Etranacogen dezaparvovec

Lebensqualität führte (HOPE-B ClinicalTrials.gov number: NCT03569891 / Publikation: DOI: 10.1056/NEJMoa2211644).

Dosierung:

Die empfohlene Dosis für Etranacogen dezaparvovec (Hemgenix®) ist eine Einzeldosis von 2×10^{13} gc/kg Körpergewicht, entsprechend 2 ml/kg Körpergewicht, verabreicht als intravenöse Infusion.

Mit welchem OPS wird die Methode verschlüsselt?

6-00j.1

Anmerkungen zu den Prozeduren

Zusatzschlüssel: 5-936.1 Verwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien; Internationale Zulassung

Bei welchen Patienten wird die Methode angewandt (Indikation)?

Hemgenix® ist indiziert zur Behandlung von schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) bei Erwachsenen ohne Faktor-IX-Inhibitoren in ihrer Vorgeschichte.

Es ist zugelassen als Arzneimittel für ein seltenes Leiden (Orphan Drug).

Welche bestehende Methode wird durch die neue Methode abgelöst oder ergänzt?

Etranacogen dezaparvovec (Hemgenix®) kann die bisherige lebenslange prophylaktische Substitutionstherapie mit Gerinnungsfaktor-IX bei erwachsenen Patienten mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B ohne Faktor-IX-Inhibitoren in ihrer Vorgeschichte langfristig ersetzen.

Etranacogen dezaparvovec ersetzt die folgenden Therapieoptionen zur dauerhaften Behandlung des hereditären Faktor-IX-Mangels (Hämophilie B):

plasmatische F-IX Produkte (Haemonine®, Alphanine®, Immunine®, Octanine®), Eftrenonacog alfa (Alprolix®), Nonacog beta pegol (Refixia®), Albutrepononacog alfa (Idelvion®), Nonacog alfa (Benefix®), Nonacog gamma (Rixubis®) sowie Marstacimab (Hypavzi®)

Die Behandlung von Blutern mit Blutgerinnungsfaktoren wird über das krankenhausindividuelle Zusatzentgelt ZE2026-97 vergütet. Antikörper sind über NUB-Entgelte abgebildet.

Ist die Methode vollständig oder in Teilen neu und warum handelt es sich um eine neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode?

Bei Etranacogen dezaparvovec handelt es sich um ein neues Gentherapeutikum, das als Hemgenix® erstmals 2023 in die Behandlung eingeführt wurde.

In den Informationen nach §6 Abs. 2 KHEntgG für 2026 hat Etranacogen dezaparvovec Status 1.

Welche Auswirkungen hat die Methode auf die Verweildauer im Krankenhaus?

Zur Veränderung der Verweildauer im Krankenhaus können derzeit aufgrund fehlender Erfahrungen keine Aussagen gemacht werden.

Wann wurde diese Methode in Deutschland eingeführt?

01. Mai 2023

Bei Medikamenten: Wann wurde dieses Medikament zugelassen?

NUB-Musteranfrage

[Arbeitskreis DRG und Gesundheitsökonomie der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V.](#)

www.dgho.de

Seite 2 von 4

27-056 Etranacogen dezaparvovec NUB-Anfrage DGHO Stand 2026-10-06 final

NUB Antrag 2026/2027

Etranacogen dezaparvovec

20. Februar 2023

Wann wurde bzw. wird die Methode in Ihrem Krankenhaus eingeführt?

[bitte ergänzen]

In wie vielen Kliniken wird diese Methode derzeit eingesetzt (Schätzung)?

Etranacogen Dezaparvovec wird in max.30 Kliniken in Deutschland eingesetzt (Schätzung aufgrund der bisherigen NUB-Anfragen in 2026).

Wie viele Patienten wurden in Ihrem Krankenhaus in 2025 oder in 2026 mit dieser Methode behandelt?

In 2025

[bitte ergänzen]

In 2026

[bitte ergänzen]

Wieviele Patienten planen Sie im Jahr 2027 mit dieser Methode zu behandeln?

[bitte ergänzen]

Entstehen durch die neue Methode Mehrkosten gegenüber dem bisher üblichen Verfahren? Wenn ja, wodurch? In welcher Höhe (möglichst aufgetrennt nach Personal- und Sachkosten)?

Sachkosten:

Die empfohlene Dosis von Etranacogen dezaparvovec (Hemgenix®) ist eine Einzeldosis von 2×10^{13} Genomkopien(gc)/kg Körpergewicht, entsprechend 2 ml/kg Körpergewicht (KG). Bei einem Patienten mit 75 kg Körpergewicht beträgt die Dosis damit 150 ml ($75 \text{ kg} \times 2 \text{ ml/kg KG}$) beziehungsweise 150×10^{13} gc.

Packungsgröße: Die Gesamtzahl der Durchstechflaschen in jeder Packung entspricht dem Dosierungsbedarf für den betreffenden Patienten, abhängig vom Körpergewicht des Patienten.

Unabhängig von der Gesamtzahl der Durchstechflaschen fällt ein Pauschalpreis pro Packung an. Dieser Pauschalpreis beläuft sich auf 2.482.100,16 € (Taxe-VK inkl. MwSt., gem. LauerTaxe, Stand 01.04.2025) pro behandeltem Patienten.

Personalkosten

Für die Zubereitung: ca. 10 Minuten (MTD Apotheke)

Für die Applikation: ca. 5 Minuten (ÄD) und ca. 5 Minuten (PD)

Für die Überwachung: ca. 30 Minuten (PD), ca. 10 Minuten (ÄD)

Es geschieht eher selten, dass ein Patient für die Gabe von Etranacogen dezaparvovec (Hemgenix®) stationär behandelt wird und sein Fall somit in eine organspezifische DRG gruppiert wird. Es kommt häufiger vor, dass der Patient wegen einer anderen Erkrankung aufgenommen wird und dieses Medikament erhält. Kosten für dieses Medikament können daher in vielen DRGs vorkommen und sind möglicherweise auch nicht konkret dem Fall zugeordnet.

Welche DRG(s) ist/sind am häufigsten von dieser Methode betroffen?

Warum ist diese Methode aus Ihrer Sicht derzeit im G-DRG-System nicht sachgerecht abgebildet?

Etranacogen dezaparvovec ist seit 2023 in Deutschland auf dem Markt.

NUB-Musteranfrage

[Arbeitskreis DRG und Gesundheitsökonomie der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie e.V.](#)

www.dgho.de

Seite 3 von 4

27-056 Etranacogen dezaparvovec NUB-Anfrage DGHO Stand 2026-10-06 final

NUB Antrag 2026/2027

Etranacogen dezaparvovec

Für das Datenjahr 2025 könnten aus den Kalkulationshäusern Kostendaten für den Einsatz vorliegen. Wir vermuten, dass die Stichprobe jedoch zu klein war, als dass genügend Kosten- und Leistungsdaten aus den Krankenhäusern vorliegen, um damit eine sachgerechte Abbildung im G-DRG System 2027 zu ermöglichen.

Die zusätzlichen Kosten von ca. 2,5 Millionen € pro Behandlung können aber mit der/den entsprechenden Fallpauschale(n) allein nicht ausreichend abgebildet werden.

Aufgrund der hohen Kosten des Medikaments kommt es zu einer Unterfinanzierung in den entsprechenden Fällen der betroffenen DRG(s).

Etranacogen Dezaparvovec hatte in den Vorjahren bereits den Status 1 erhalten.