



HTA Austria
Austrian Institute for
Health Technology Assessment
GmbH

Teprotumumab (TEPEZZA®):
HTA-Ergebnisse kompakt für Patient:innen

Inhalt

Was ist Teprotumumab und welche Krankheiten sollen damit behandelt werden?	3
Für welche Patient:innen ist Teprotumumab (TEPEZZA®) zugelassen?	3
Wie funktioniert die Behandlung?	3
Was zeigen die bisherigen Studienergebnisse?	4
Welche Nebenwirkungen können auftreten?	4
Wie viele Menschen sind in Österreich betroffen?.....	4
Was sind besondere Herausforderungen?	5
Was kostet die Behandlung?.....	5
Wie geht es weiter?.....	5
Abkürzungen	6
Glossar	6

Das Ministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit, Pflege und Konsumentenschutz (BASGPK) hat das Austrian Institute for Health Technology Assessment (AIHTA) im Februar 2025 mit einer Bewertung des Arzneimittels **Teprotumumab (TEPEZZA®)** beauftragt. Nachfolgend werden die Ergebnisse des *HTA-Berichts*¹ zusammengefasst. Der gesamte Bericht ist unter <https://eprints.aihta.at/1560> abrufbar.

Was ist Teprotumumab und welche Krankheiten sollen damit behandelt werden?

Teprotumumab ist der erste *monoklonale Immunglobulin 1 (IgG1)*-Antikörper, welcher an den insulin-ähnlichen Wachstumsfaktor (IGF)-1-Rezeptor bindet und dadurch dessen Aktivierung und die Signalübertragung hemmt. Teprotumumab soll zukünftig für die Behandlung der *endokrinen Orbitopathie* (thyroid eye disease, TED) eingesetzt werden. Patient:innen die von TED betroffen sind, leiden unter einer Autoimmunerkrankung, die das Gewebe hinter den Augen betrifft.

Für welche Patient:innen ist Teprotumumab (TEPEZZA®) zugelassen?

Teprotumumab wurde 2020 von der US-amerikanischen Behörde für Lebensmittel- und Arzneimittelsicherheit (Food and Drug Administration, FDA) für die Behandlung von TED zugelassen. Seitens der Europäischen Arzneimittelagentur (European Medicines Agency, EMA) gibt es derzeit noch keine Marktzulassung, jedoch ein positives Gutachten des Ausschusses für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) vom 25. April 2025 hinsichtlich des Einsatzes von Teprotumumab bei erwachsenen Patient:innen mit mittelschwerer bis schwerer TED.

Wie funktioniert die Behandlung?

Die Verabreichung von Teprotumumab erfolgt als *intravenöse* Infusion mit einer Anfangsdosis von 10 mg/kg, gefolgt von 20 mg/kg alle drei Wochen für sieben weitere Behandlungen. Die Behandlung findet in einer Tagesklinik statt und erfordert – bei Ausbleiben von Unverträglichkeitsreaktionen – keinen Krankenhausaufenthalt. Um *unerwünschten Ereignissen* entgegenzuwirken ist eine ausführliche Voruntersuchung sowie ein Monitoring des Schilddrüsenstatus, der *Blutzuckerwerte*, von entzündlichen Darmerkrankungen und der Hörfunktion während des Behandlungszeitraums notwendig.

¹ Kursiv geschriebene Begriffe werden im Glossar erklärt.

Was zeigen die bisherigen Studienergebnisse?

Teprotumumab wurde in drei klinischen Studien (OPTIC, OPTIC-J, OPTIC-X) und einer Beobachtungsstudie (Chen et al.) bei aktiver endokriner Orbithopathie evaluiert. Die Studienergebnisse zeigen eine signifikante Verbesserung der hervorstehenden Augen (Teprotumumab: 83-89% vs. *Placebo*: 10-11%), des *Clinical Activity Scores* (CAS: 59% vs. 21-22%) und der Lebensqualität im Vergleich zu *Placebo*. Es bestehen jedoch Unsicherheiten bezüglich der Langzeitwirksamkeit und der Sicherheit (siehe Nebenwirkungen) von Teprotumumab. Die Studien zeigten, dass bei ca. 27% der Patient:innen die Krankheit nach dem ersten Therapiezyklus wieder aktiv wird und ein zweiter Zyklus notwendig wäre. Es liegen aktuell jedoch noch keine Daten vor, wie viele Behandlungszyklen insgesamt durchgeführt werden könnten. Insgesamt ist die Aussagekraft der bisherigen Ergebnisse limitiert, da Teprotumumab nur gegen *Placebo* und nicht gegen die bestehende Standardtherapie (Kortison) getestet wurde.

Welche Nebenwirkungen können auftreten?

Die berichteten *unerwünschten Ereignisse* von Teprotumumab waren in den drei klinischen Studien ähnlich. Zu den häufigsten Nebenwirkungen zählten *Muskelspasmen* (32%), Haarausfall (19-20%), Übelkeit (15%), sowie Müdigkeit (12%). Die meisten Nebenwirkungen verschwanden nach der Beendigung der Therapie von selbst wieder und wurden als leicht bis moderat eingestuft. Eine Nebenwirkung stellt jedoch die Hörbeeinträchtigung dar, die bei 12-15% der Patient:innen auftrat. In den meisten Fällen war diese reversibel, es wurde jedoch auch ein Wiederauftreten der Hörprobleme beim zweiten Therapiezyklus beobachtet. Generell weisen Patient:innen mit einer Vorschädigung des Gehörs ein höheres Risiko für das Auftreten dieses unerwünschten Ereignisses auf.

Wie viele Menschen sind in Österreich von TED betroffen?

Bei TED handelt es sich um eine relativ seltene Krankheit. Da es zurzeit für Österreich kein Register zur Erfassung der Patient:innen mit TED gibt, liegen keine präzisen und aktuellen Fallzahlen vor. Internationalen *Inzidenzraten* zufolge (Männer: 0,54-0,9 Fälle/100.000/Jahr; Frauen: 2,67-3,3 Fälle/100.000/Jahr) kann man in Österreich mit etwa 148 neuen moderat bis schwere TED-Fälle pro Jahr rechnen. Bei etwa 20-40% dieser Fälle ist davon auszugehen, dass sie zusätzlich zur Kortison-Standardtherapie noch eine weiterführende Behandlung, wie z.B. Teprotumumab, benötigen.

Was sind besondere Herausforderungen der Therapie?

Die Verabreichung von Teprotumumab erfordert Voruntersuchungen, laufende Überwachungen und spezialisierte Zentren mit geschultem Personal. Neben den Voruntersuchungen ist vor Beginn der Infusionstherapie eine ausführliche Aufklärung der Patient:innen sowie *Betreuer:innen* notwendig. Weiters betonen österreichische klinische Expert:innen, dass eine Zusammenarbeit von Ärzt:innen verschiedener Fachrichtungen (Augenheilkunde, Hormon- und Stoffwechsellhre, Bildgebung und Chirurgie) notwendig ist, um eine bestmögliche Behandlung für die Patient:innen erzielen zu können. Für Patient:innen mit TED stellt jedoch der Zugang zur richtigen Diagnose und Therapie ein großes Problem dar, da viele Patient:innen durch den Mangel an spezialisierten Zentren nicht die notwendige Unterstützung erhalten.

Was kostet die Behandlung?

Derzeit ist noch kein Preis für Teprotumumab in Europa verfügbar, weswegen ein Platzhalter-Preis von rund €13,663 pro 500 mg Pulver zur intravenösen Anwendung für die Berechnung der Budgetfolgen herangezogen wurde. Die direkten Gesamtkosten aller Therapien inklusive Teprotumumab werden für drei Jahre, abhängig von der endgültigen Patient:innenzahl (n= 45 bis n= 115), auf €73,9 bis €117,7 Millionen geschätzt und wären somit um das vier- bis sechsfache höher als das Standardtherapie-Szenario ohne Teprotumumab (€19,4 Millionen). Letztendlich werden der für Österreich verhandelte Preis und die tatsächliche Anzahl an Patient:innen, die mit Teprotumumab behandelt werden, die budgetären Auswirkungen für das österreichische Gesundheitssystem maßgeblich beeinflussen.

Wie geht es weiter?

Zurzeit läuft noch das Zulassungsverfahren bei der europäischen Arzneimittelagentur (EMA). Die endgültige Zulassung für Teprotumumab durch die europäische Kommission wird für Juli 2025 erwartet.

Abkürzungen	
AIHTA	Austrian Institute for Health Technology Assessment
BASGPK	Bundesministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit, Pflege und Konsumentenschutz
CAS	Clinical Activity Score
CHMP	Ausschuss für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use)
EMA	Europäische Arzneimittelagentur (European Medicines Agency)
FDA	US-amerikanische Behörde für Lebensmittel- und Arzneimittelsicherheit (Food and Drug Administration)
HTA	Health Technology Assessment
IgG1	Immunglobulin G1
IGF	Insulinähnlicher Wachstumsfaktor
TED	Endokrine Orbitopathie (thyroid eye disease)

Glossar	
Betreuer:innen	Personen, die Betroffene unterstützen
Blutzuckerwerte	Blutzucker ist der Zuckergehalt (Glukose) im Blut.
Clinical Activity Score	Die Aktivität der endokrinen Orbitopathie wird im Clinical Activity Score beurteilt.
Endokrine Orbitopathie	Eine entzündliche Erkrankung der Augenhöhle, die durch eine Schilddrüsenerkrankung (Morbus Basedow) hervorgerufen wird.
Health Technology Assessment	Ein systematischer, evidenzbasierter Prozess, der sowohl klinische als auch nicht-klinische Aspekte von Gesundheitstechnologien bewertet. Dazu gehören sowohl Arzneimittel, wie auch Medizinprodukte oder medizinische und chirurgische Verfahren, sowie Maßnahmen zur Prävention von Krankheiten oder in der Gesundheitsversorgung angewandte Diagnose- und Behandlungsverfahren.
Interdisziplinarität	Zusammenarbeit mehrerer Fachbereiche (zum Beispiel Augenärzt:innen, Endokrinolog:innen und Chirurg:innen).
Intravenös	In eine Vene.
Inzidenzrate	Gibt an wie viele Personen in einem bestimmten Zeitraum (meistens 1 Jahr) neu an einem Leiden erkrankt sind.

Monoklonales Immunoglobulin	Monoklonaler Antikörper; Ein Abwehrstoff, der von einer bestimmten Zelllinie gebildet wird und sich gegen einen bestimmten Teil eines Krankheitserregers richtet.
Muskelspasmen	Muskelkrämpfe
Placebo	Medikamente, die keinerlei Wirkstoff enthalten.
Unerwünschte Ereignisse	Nebenwirkung; ein schädliches Ereignis, das nach oder während des Einsatzes einer Intervention (zum Beispiel der Einnahme von Medikamenten) eintritt.