

Mündliche Anhörung

gemäß § 35 a Abs. 3 Satz 2 SGB V
des Gemeinsamen Bundesausschusses

hier: Patiromer (D-1007)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 10. Juni 2024
von 10:00 Uhr bis 10:13 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Fresenius Medical Care Nephrologica Deutschland GmbH, vertreten durch Vifor Pharma Deutschland GmbH:**

Herr Dr. Hardt

Herr Dr. Müller

Frau Dr. van der Stap

Frau Stoll

Angemeldete Teilnehmende der Firma **AstraZeneca GmbH:**

Frau Dr. Riemann

Herr Köhne

Angemeldeter Teilnehmender des **Verbandes Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa):**

Herr Bussilliat

Beginn der Anhörung: 10:00 Uhr

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschusses Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Wir haben Montag, Anhörungstag. Wir beginnen mit Patiomer, neues Anwendungsgebiet Hyperkaliämie für Kinder und Jugendliche im Alter von zwölf bis 17 Jahren. Zur Dossierbewertung des IQWiG vom 22. April 2024 und zum Dossier insgesamt haben wir zum einen vom pharmazeutischen Unternehmer Fresenius Medical Care Nephrologica Deutschland GmbH und als weiterem pharmazeutischen Unternehmen von AstraZeneca Stellungnahmen erhalten. Die Fachgesellschaften oder die AkdÄ haben keine Stellungnahme abgegeben. Eine weitere Stellungnahme haben wir vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller erhalten.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Fresenius Medical Care Nephrologica Deutschland GmbH, vertreten durch Vifor Pharma Deutschland GmbH, müssten anwesend sein: Herr Dr. Hardt, Herr Dr. Müller, Frau Dr. van der Stap und Frau Stoll, für AstraZeneca Frau Riemann und Herr Köhne sowie für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller Herr Bussilliat. Ist noch jemand anwesend, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich gebe zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer bzw. den Vertretern von Vifor Pharma Deutschland, die den pU vertreten, die Möglichkeit, einleitend zum Wirkstoff, zum neuen Anwendungsgebiet und zur Dossierbewertung des IQWiG Stellung zu nehmen. Danach treten wir, sofern erforderlich, in die Frage-und-Antwort-Runde ein. Wer macht das für den pharmazeutischen Unternehmer?

Herr Dr. Müller (Vifor Pharma): Das übernehme ich gerne.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Bitte schön, Herr Dr. Müller, Sie haben das Wort.

Herr Dr. Müller (Vifor Pharma): Vielen herzlichen Dank. – Sehr geehrter Herr Vorsitzender! Sehr geehrte Damen und Herren! Danke für die einleitenden Worte und die Gelegenheit, im Rahmen der Anhörung Stellung nehmen zu dürfen. Zuerst möchte ich meine Kolleginnen, Kollegen und mich kurz vorstellen: Mit mir zusammen sind hier Herr Dr. Thomas Hardt und Frau Stefanie Stoll aus dem Bereich Market Access sowie Andrea van der Stap aus unserer Medizin. Alle drei haben intensiv an der Erstellung des Nutzendossiers mitgewirkt. Mein Name ist Dr. Berno Müller, ich leite den Bereich Medizin bei der CSL Vifor.

Patiomer ist ein dem G-BA schon bekannter Wirkstoff. Patiomer wurde erstmals im Jahr 2018 für die Behandlung einer Hyperkaliämie bei Erwachsenen in Deutschland eingeführt und im Rahmen der damaligen Nutzenbewertung bewertet. Seit der Markteinführung hat sich Patiomer als eine weitere wirksame und sichere Therapieoption in der klinischen Praxis etabliert und wird seitdem auch in einschlägigen klinischen Leitlinien wie beispielsweise der KDIGO, der ESC oder der ESH als Therapieoption empfohlen. Wir freuen uns, dass dieser Wirkstoff nun auch für Kinder und Jugendliche zwischen zwölf und 17 Jahren zur Verfügung steht. Wir sind davon überzeugt, dass Patiomer auch und besonders den pädiatrischen Patienten einen deutlichen Mehrwert in der Behandlung der Hyperkaliämie bieten kann.

Kurz zum Hintergrund der Erkrankung: Eine Hyperkaliämie ist eine potenziell lebensbedrohliche Elektrolytstörung. Das Therapieziel der Behandlung einer Hyperkaliämie ist die Absenkung und die anschließend langfristige Aufrechterhaltung des Serum-Kaliumspiegels im Normbereich. Hierfür bedarf es einer patientenindividuellen Therapie nach Maßgabe des Arztes, was den derzeitigen Therapiestandard darstellt. Neben Patiomer

stehen zum aktuellen Zeitpunkt für Kinder und Jugendliche im Alter von zwölf bis 17 Jahren für die kaliumbindende medikamentöse Behandlung einer Hyperkaliämie lediglich die Polystyrolsulfonate CPS und SPS zur Verfügung, die neben einer nicht evidenzbasierten Wirksamkeit erhebliche Nebenwirkungen aufweisen können.

Nur kurz als Hintergrund für das Plenum: Warum sprechen wir von nicht evidenzbasierter Wirksamkeit? Die Polystyrolsulfonate CPS und SPS wurden lange vor Inkrafttreten des Arzneimittelgesetzes im Jahr 1976 zugelassen und somit zu einer Zeit, in der pharmazeutische Unternehmer für eine Marktzulassung keine Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit vorlegen mussten. Folglich liegt keine Evidenz für die Behandlung einer Hyperkaliämie bei Kindern und Jugendlichen mit den Polystyrolsulfonaten CPS und SPS in Form von klinischen Studien oder Langzeitdaten zur Wirksamkeit, zu Sicherheitsendpunkten vor, da auch nach Inkrafttreten des AMG keine entsprechend geplanten Studien durchgeführt wurden. Aktuelle Leitlinien zum Management der Hyperkaliämie – wie gesagt, KDIGO, ESC und ESH – empfehlen diese Therapieoption mit CPS und SPS nur eingeschränkt oder gar nicht mehr als medikamentöse Therapie.

Die Leitlinien bilden eine Behandlungsempfehlung für die pädiatrische Population mit zugelassenen Kaliumbindern als Bestandteil einer patientenindividuellen Therapie nach Maßgabe des Arztes ab. Es besteht somit ein hoher therapeutischer Bedarf für ein spezifisch zugelassenes sowie wirksames, sicheres und verträgliches Arzneimittel zur dauerhaften Behandlung einer Hyperkaliämie bei Kindern und Jugendlichen. Mit der Zulassungserweiterung von Patiomer für Kinder und Jugendliche im Alter von zwölf bis 17 Jahren steht nun erstmals ein evidenzbasiertes, spezifisch zugelassenes, wirksames und verträgliches Arzneimittel für dieses vulnerable Patientenkollektiv zur Verfügung.

Die Ergebnisse der pivotalen einarmigen offenen Studie EMERALD zeigen für diese Kohorte, dass der Serum-Kaliumspiegel im Studienverlauf bis zu 26 Wochen durch eine einmal tägliche Einnahme von Patiomer klinisch bedeutsam in den normokaliämischen Bereich gesenkt werden konnte. Dabei kam es zu keiner nennenswerten Häufung von unerwünschten Ereignissen.

Zusammenfassend lässt sich sagen, Patiomer hat sich in der klinischen Praxis als sichere und wirksame Therapie bei Erwachsenen etabliert und stellt jetzt auch eine Therapieoption für Kinder und Jugendliche im Alter von zwölf bis 17 Jahren dar. Damit adressiert Patiomer einen bestehenden qualitativ hohen Versorgungsbedarf bei dieser potenziell lebensbedrohlichen Erkrankung. –

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Herr Dr. Müller, für diese Einführung. Wenn Sie auf die Evidenzsituation der Polystyrolsulfonate hinweisen, dann ist das eine Situation, die wir am Anfang in der AMNOG-Zeit häufiger hatten, weil wir üblicherweise mit zweckmäßigen Vergleichstherapien konfrontiert waren, die vor Inkrafttreten des AMNOG und arzneimittelrechtlich aus so historischen Zeiten stammten, dass Daten wirklich nur eingeschränkt zur Verfügung standen. Wir haben jetzt nach langer Zeit noch einmal eine solche Situation.

Ich schaue in die Runde und frage: Gibt es Fragen von den Bänken, von der Patientenvertretung? – Weder das IQWiG noch Sie als pharmazeutischer Unternehmer haben relevante Studien identifiziert – das haben Sie gerade gesagt, Herr Müller –, die einen Vergleich gegenüber der zVT mit den Limitationen, die Sie erwähnt haben, und mit den eingeschränkten Empfehlungen in den Leitlinien ermöglichen. Die Zulassungsstudie EMERALD ist eine einarmige Studie, und die Probleme einarmiger Studien im Rahmen der Nutzenbewertung kennen wir alle.

Wer möchte eine Frage stellen? – Fachgesellschaften haben wir leider nicht. Frau Preukschat vom IQWiG, bitte.

Frau Preukschat: Es ist weniger eine Frage als eine Anmerkung. Ich wollte gerne darauf hinweisen, dass wir schon 2018 bei den Erwachsenen keine geeigneten Daten für die Nutzenbewertung hatten. Damals lag die Studie OPAL vor, die aus verschiedenen Gründen nicht für die Nutzenbewertung gegenüber der zVT geeignet war. Das war, glaube ich, damals die patientenindividuelle Therapie. Das heißt, wir haben hier schon die Situation, dass wir bei den Erwachsenen keinen Zusatznutzen haben, und ich wollte darauf hinweisen, weil in der Stellungnahme anklingt, als würden Sie hier eine Art Evidenztransfer von den Erwachsenen auf die Jugendlichen sehen. Das liegt in der Datenkonstellation, die wir hier haben, aus unserer Sicht sehr fern.

Sie erwähnen in der Stellungnahme zu den Erwachsenen neben der Studie OPAL diverse Studien. Sollten Sie dort zwischenzeitlich neue Evidenz generiert haben, können Sie – das wissen Sie – neue wissenschaftliche Erkenntnisse beim G-BA einreichen. Dann könnte man sich die Datenlage bei den Erwachsenen noch einmal anschauen. Erst dann kann man überhaupt über einen Evidenztransfer auf die Kinder nachdenken. Aber in der Datenkonstellation, wie sie sich jetzt darlegt, ist auch dieser Weg derzeit verschlossen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Preukschat. pU, möchten Sie darauf replizieren? – Herr Dr. Hardt, bitte.

Herr Dr. Hardt (Vifor Pharma): Ja, vielleicht nur kurz zur Klarstellung: Das möchten wir so nicht gelesen sehen. Uns ist die Evidenzlage klar, und deshalb ist klar, dass wir im Dossier keinen Zusatznutzen gefordert haben. Die Problematik, die Sie, Herr Professor Hecken, mit den Studien bei Kindern ansprechen, ist uns durchaus bewusst, deshalb hier ganz bewusst kein Zusatznutzen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Klar. Danke schön. – Dann brauchen wir es, glaube ich, nicht über Gebühr zu verlängern. Ich sehe keine Fragen von den Bänken. Die Sachlage ist relativ klar. Dann frage ich Herrn Müller: Möchten Sie noch einmal wiederholen, was Sie eben gesagt haben, oder ein Schlusswort abgeben? Sonst würden wir die Anhörung beenden.

Herr Dr. Müller (Vifor Pharma): Ich sehe es wie Sie, es nicht unnötig in die Länge zu ziehen. Von daher recht herzlichen Dank dafür, dass wir Stellung nehmen konnten. Wie Herr Thomas Hardt gesagt hat und wie Sie und das IQWiG es bestätigt haben, ist die Datenlage klar. Deshalb haben wir auch diese Frage gestellt. Vielen herzlichen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Dann bedanke ich mich bei Ihnen, und wir können diese Anhörung an der Stelle beenden. Wir machen um 11 Uhr weiter. Wir hatten für den Fall, dass vielleicht noch Evidenz vom Himmel gekommen wäre, eine Stunde eingeplant. Ich bedanke mich ganz herzlich. Eine gute Woche für Sie alle. Danke schön.

Schluss der Anhörung: 10:13 Uhr