



Mündliche Anhörung

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

hier: Entrectinib (D-1094)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 9. Dezember 2024
von 14:43 Uhr bis 14:51 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Roche Pharma AG:**

Frau Dr. Holzer

Frau Dr. Kellershohn

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA:**

Frau Dr. Kähm

Frau Dr. Wiesner

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Bayer Vital GmbH:**

Herr Dr. Strauß

Frau Dr. Caruso

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

Herr Bussilliat

Beginn der Anhörung: 14:43 Uhr

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Entschuldigung, wir sind immer noch zehn Minuten hinter der Zeit, weil das vor der Mittagspause etwas länger gedauert hat. Wir sind jetzt bei der Anhörung Entrectinib, neues Anwendungsgebiet zur Behandlung von Kindern älter als 1 Monat bis 12 Jahre mit soliden Tumoren mit NTRK-Genfusion.

Basis der heutigen Anhörung ist die Dossierbewertung des IQWiG. Obwohl wir es hier bei der Anwendungsgebietserweiterung mit einer sehr kleinen Patientengruppe zu tun haben, hat es insgesamt im Rahmen der Gesamtzulassung keine Orphan-Designation. Diese Dossierbewertung vom 30. Oktober dieses Jahres ist vom pharmazeutischen Unternehmer und vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller mit einer Stellungnahme versehen worden. Fachgesellschaften oder AkdÄ haben keine Stellungnahme abgegeben. Als weitere pharmazeutische Unternehmer haben sich Bayer Vital und Bristol-Myers Squibb gemeldet, und der Anhörungskörper ist entsprechend limitiert.

Wir haben hier eine einarmige Studie. Auch der pharmazeutische Unternehmer sagt, mit Blick auf die sehr kleine Patientenzahl ist am Ende des Tages mehr als diese einarmige Studie nicht machbar, beansprucht auch, wenn ich das richtig verinnerlicht habe, keinen Zusatznutzen. Aber wir sollten trotzdem heute im Rahmen der Anhörung über die Fragen sprechen, die wir mit Blick auf die Dossierbewertung haben.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir heute wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Roche Pharma müssten anwesend sein Frau Dr. Holzer und Frau Dr. Kellershohn, für Bristol-Myers Squibb Frau Dr. Kähm und Frau Dr. Wiesner, für Bayer Vital Herr Dr. Strauß und Frau Dr. Caruso sowie für den vfa Herr Bussilliat. Ist noch jemand in der Leitung, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich gebe zunächst dem pU die Möglichkeit, kurz einzuführen. Wer macht das?

Frau Dr. Holzer (Roche Pharma): Das übernehme ich.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Frau Holzer, bitte.

Frau Dr. Holzer (Roche Pharma): Sehr geehrter Herr Vorsitzender! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank für die Möglichkeit, zu Beginn unsere Sicht darlegen zu dürfen. Zuerst möchte ich uns gerne vorstellen: Mit mir anwesend ist heute Frau Dr. Kellershohn. Mein Name ist Britta Holzer. Wir sind als HTA-Leads für die Nutzenbewertung unserer zielgerichteten Arzneimittel im Bereich des Lungenkarzinoms und der Präzisionsonkologie verantwortlich.

Von unserer Seite können wir die wichtigsten Aspekte in drei Punkten kurzfassen: Erstens. Bei den vom Anwendungsgebiet umfassten Patienten handelt es sich um schwer kranke und zum Teil sehr junge Kinder mit einer fortgeschrittenen oder metastasierten Erkrankung oder in einer Therapiesituation, in der eine mutilierende chirurgische Resektion vermieden werden soll. Durch das Vorliegen einer NTRK-Genfusion haben diese Kinder die Möglichkeit auf eine aktive und zielgerichtete Behandlung. Dementsprechend kann aus unserer Sicht weder Best-Supportive-Care noch eine chirurgische Resektion neben Larotrectinib Teil der zweckmäßigen Vergleichstherapie sein.

Zweitens. Das Anwendungsgebiet ist extrem klein und umfasst selbst unter Berücksichtigung der seitens des IQWiG vorgeschlagenen Vorgehensweise maximal drei Kinder pro Jahr in der GKV-Population.

Drittens. Das pädiatrische Entwicklungsprogramm hat zur Entwicklung kindgerechter Darreichungsformen von Entrectinib geführt. Die EMA sieht in Entrectinib eine relevante Therapieoption, vor allem aufgrund seiner deutlichen ZNS-Wirksamkeit und des sehr hohen therapeutischen Bedarfs bei diesen jungen Patienten.

Da die zulassungsrelevanten Studien aber nicht die Anforderungen an die Nutzenbewertung im Rahmen des AMNOG-Systems erfüllen, haben wir auf die Ableitung eines Zusatznutzens verzichtet. Dementsprechend sehen wir keine Diskrepanz zur Zusatznutzenbestimmung seitens des IQWiG. Aus Transparenzgründen sind die Daten deskriptiv im Dossier dargestellt. Diese bilden die Grundlage für den positiven Zulassungsentscheid seitens der EMA. – Ich danke Ihnen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Dr. Holzer, für diese Einführung. – Ich schaue einmal in die Runde. Ich habe keine Fragen. Ich nehme zur Kenntnis, dass Sie zum einen BSC als Bestandteil der zVT infrage stellen, aber insbesondere die chirurgische Resektion, auch mit den Limitationen, mit denen sie hier versehen ist. Wir haben bewusst nicht nur „chirurgische Resektion“ geschrieben, sondern haben es sehr ausdifferenziert. Das will ich an der Stelle ausdrücklich unterstreichen.

Ich schaue in die Runde: Gibt es Fragen, Anmerkungen, Klärungsbedarf, oder können wir das so zur Kenntnis nehmen und den Dingen ihren Fortgang geben? Es ist relativ klar, was dann passiert. – Ich sehe keine Wortmeldung. Wir brauchen es auch nicht in die Länge zu ziehen. – Frau Holzer, Sie sagen am Schluss das, was Sie zu Beginn gesagt haben, nehme ich an. Sie weisen noch einmal darauf hin, dass es sich um schwerkranke Kinder mit relativ limitierten oder überhaupt Therapieoptionen handelt. Sie sehen BSC und chirurgische Resektion nicht als zweckmäßige Vergleichstherapie an. Sie sagen, der einzig in Rede stehende zVT-Komparator kann Larotrectinib sein, und Sie haben für Entrectinib jetzt kindgerechte Darreichungsformen, und damit haben wir im Prinzip auch das Wortprotokoll fast fertig. Ich habe es jedenfalls im Kopf.

Frau Dr. Holzer (Roche Pharma): Das ist so, danke.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Okay, dann nehmen wir das so zur Kenntnis und können die Anhörung an der Stelle schließen. Es macht keinen Sinn, jetzt noch eine Stunde darüber zu diskutieren. Ich bedanke mich bei Ihnen, dass Sie sich trotzdem die Zeit genommen haben, auf uns zu warten. Wir können diese Anhörung beenden. Das war die letzte Anhörung für heute. Ich unterbreche die Sitzung bis morgen Früh. Dann geht es weiter mit der normalen Tagesordnung. Danke schön und allen einen schönen Resttag.

Schluss der Anhörung: 14:51 Uhr