

Amendment



Gemeinsamer
Bundesausschuss

**zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit
neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V**

**Bewertung von Arzneimitteln für seltene Leiden nach § 35a
Absatz 1 Satz 11 i. V. m. Kapitel 5 § 12 Nr. 1 Satz 2 Verfo**

Wirkstoff: Polihexanid

Dossierbewertung vom 2. Januar 2025

Datum des Amendments: 27. Februar 2025

Inhaltsverzeichnis

Abkürzungsverzeichnis	3
1 Hintergrund.....	4
2 Fragestellung.....	4
3 Liste der verwendeten Quellen.....	4
4 Ergebnisse	5
Referenzen	6

Abkürzungsverzeichnis

BCVA	Best corrected visual acuity (Sehschärfe bei bestmöglicher Korrektur durch eine Sehhilfe)
EQ-5D	European Quality of Life 5-Dimension
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
N	Anzahl
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
VAS	Visuelle Analogskala
VFQ-25	Visual Function Questionnaire-25
VerfO	Verfahrensordnung des G-BA

1 Hintergrund

Polihexanid ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt.

In die Bewertung werden gemäß Zulassungsstatus Patienten in folgender Indikation eingeschlossen: Jugendliche und Erwachsene mit Akanthamöben-Keratitis.

Der pharmazeutische Unternehmer (pU) hat am 1. Oktober 2024 ein Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V beim Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) eingereicht. Als bewertungsrelevante Studie wurde die pivotale Studie 043/SI für die Nutzenbewertung herangezogen, eine randomisierte, verblindete, multizentrische Phase-III-Studie, die im Rahmen des Zulassungsprozesses als einarmige Studie ausgewertet worden ist und im Rahmen der Nutzenbewertung ebenfalls als eine solche betrachtet wird.

Die Nutzenbewertung wurde am 2. Januar 2025 zusammen mit der Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen des Instituts für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) auf der Internetseite des G-BA (<http://www.g-ba.de>) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Eine mündliche Anhörung fand am 10. Februar 2025 statt, in der offene Fragen zu den in den schriftlichen Stellungnahmen dargelegten Daten und Argumentationen erörtert wurden.

In den Dossierunterlagen wurde berichtet, dass Veränderungen nicht berichtet worden sind, wenn ihr Wert „0“ beträgt. Auf Basis der verfügbaren Informationen war unklar, inwiefern alle eingeschlossenen Personen in die Auswertung eingingen. Der pU wollte dementsprechende Informationen oder Auswertungen nachliefern.

Vor diesem Hintergrund bat der Unterausschuss Arzneimittel um eine Bewertung der nachgereichten Auswertungen und Informationen zur Berücksichtigung von Personen mit einer Veränderung von „0“ in den Auswertungen.

2 Fragestellung

Mit diesem Amendment wird die schriftliche Stellungnahme nach der mündlichen Anhörung zur Kritik der Nutzenbewertung hinsichtlich des Einbezugs von Personen ohne Veränderungen in den vorgelegten Auswertungen des pU bewertet.

3 Liste der verwendeten Quellen

Zur Bestimmung des Ausmaßes des Zusatznutzens für Polihexanid wurden folgende Quellen für dieses Amendment herangezogen:

- Schriftliche Stellungnahme des pU vom 14. Februar 2025 [5]
- Note to File (Study Files) [3]
- Dossier zur Nutzenbewertung [4]
- Mündliche Anhörung (stenographisches Wortprotokoll) [1]

4 Ergebnisse

In den Dossierunterlagen stellte der pU die Veränderung zwischen der Visite zu Studienende gegenüber Baseline in sämtlichen Endpunkten der Morbidität und Lebensqualität anhand der kontinuierlichen Auswertungen dar. In einer Fußnote des Modul 4 wird angemerkt, dass Veränderungen berichtet werden, sofern der Wert nicht gleich „0“ beträgt. In der Nutzenbewertung wurde angemerkt, dass Personen ohne Veränderung nicht in die Auswertungen eingegangen sind. Nach der mündlichen Anhörung legt der pU schriftlich dar, dass alle zurückgesandten Fragebögen in die Auswertungen eingegangen sind [5]. Eine Veränderung wurde als „0“ definiert, wenn der Post-Baseline-Wert und der Baseline-Wert identisch sind [3].

Die in der Nutzenbewertung beschriebene Methodik ist nach Angaben des pU somit nichtzutreffend [2]. Alle Personen sind nach Angaben des pU unabhängig von ihrer Veränderung in die Auswertung eingegangen. Die Rationale hinter der Fußnote in Modul 4 wurde jedoch nicht erläutert.

Auf Basis der vorliegenden Informationen werden die Rückläufe und Erhebungen der bestkorrigierten Sehschärfe (BCVA), der EQ-5D-VAS und des VFQ-25 bezogen auf die ursprünglichen eingeschlossenen Personen (N = 69) zum Studienende als ausreichend hoch bewertet. Das Studienende war für jede teilnehmende Person als Abschluss der Behandlung und somit zu unterschiedlichen Zeitpunkten definiert. Therapieversager und Personen, die aus der Studie aus anderen Gründen ausschieden, sollten trotzdem die Visite zum Studienende durchführen. Auf Basis der verfügbaren Informationen ist unklar, ob die Erhebung der BCVA zum Studienende bei Personen, die vorzeitig aus der Studie ausgeschieden sind, durchgeführt worden ist.

Der Effekt von Polihexanid auf die Morbidität und Lebensqualität kann auf Grundlage der Daten weiterhin nicht bewertet werden.

Referenzen

1. **Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA).** Mündliche Anhörung gemäß § 35a Absatz 3 Satz 2 SGB V des Gemeinsamen Bundesausschusses hier: Polihexanid (D-1119); stenographisches Wortprotokoll [online]. Berlin (GER): G-BA; 10.02.2025. [Zugriff: 26.02.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/91-1031-1138/2025-02-10_Wortprotokoll_Polihexanid_D-1119.pdf.
2. **Gemeinsamer Bundesausschuss (G-BA).** Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V Bewertung von Arzneimitteln für seltene Leiden nach § 35a Absatz 1 Satz 11 i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 1 Satz 2 VerfO. Wirkstoff: Polihexanid [online]. Berlin (GER): G-BA; 2025. [Zugriff: 19.02.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/92-975-7990/2024-10-01_Nutzenbewertung-G-BA_Polihexanid_D-1119.pdf.
3. **LinkMedical, Schollin M.** Randomized, assessor-masked, active-controlled, phase 3 study to evaluate efficacy, safety and tolerability of 0.08% polyhexamethylene biguanide (PHMB) ophthalmic solution in comparison with 0.02% PHMB + 0.1% propamidine combination therapy in subjects affected by acanthamoeba keratitis; statistical analysis plan, note to file [unveröffentlicht]. 13.02.2025.
4. **SIFI.** Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V, Modul 4 A: 0,8 mg/ml Polihexanid (Akantior), Behandlung von Akanthamöben-Keratitis bei Erwachsenen und Kindern ab 12 Jahren; Medizinischer Nutzen und medizinischer Zusatznutzen, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen [online]. Berlin (GER): G-BA; 30.09.2024. [Zugriff: 19.02.2025]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/92-975-7989/2024_09_30_Modul4A_AKANTIOR.pdf.
5. **SIFI.** Schriftliche Stellungnahme zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V und Kosten-Nutzen-Bewertung nach § 35b SGB V: Polihexanid (AKANTIOR) [unveröffentlicht]. 14.02.2025.