

# Mündliche Anhörung



Gemeinsamer  
Bundesausschuss

gemäß 5. Kapitel § 19 Abs. 2 Verfahrensordnung  
**des Gemeinsamen Bundesausschusses**

**hier: Wirkstoff Palopegteriparatid (D-1010)**

Videokonferenz des Gemeinsamen Bundesausschusses

am 6. Mai 2024

von 10:45 Uhr bis 11:15 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Ascendis Pharma Endocrinology GmbH:**

Frau Dr. Abel

Frau Dr. Warmbold

Herr Dr. Klisch

Herr Dr. Hagenlocher

Angemeldete Teilnehmende für die **Deutsche Gesellschaft für Endokrinologie (DGE):**

Frau Prof. Dr. Siggelkow

Angemeldeter Teilnehmender für den **Verband Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa):**

Herr Dr. Rasch



Beginn der Anhörung: 10:45 Uhr

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Sehr geehrte Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des G-BA. Montag ist Anhörungstag; wir haben jetzt die zweite Anhörung, und zwar zu Palopegteriparatid, zur Parathormon-Substitutionstherapie eingesetzt. Das ist eine Orphan-Markteinführung, die aber der regulären Bewertung unterworfen wird. Basis des Bewertungsverfahrens ist zum einen das vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegte Dossier und die darauf fußende Dossierbewertung des IQWiG vom 27. März 2024. Zu dieser Dossierbewertung hatten Stellung genommen zum einen der pharmazeutische Unternehmer Ascendis Pharma, die Deutsche Gesellschaft für Endokrinologie, Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG und der Verband Forschender Arzneimittelhersteller.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, weil wir auch heute wieder Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer, also für Ascendis, sind anwesend Frau Dr. Abel, Frau Dr. Warmbold, Herr Dr. Klisch und Herr Hagenlocher. Dann müsste Frau Professor Dr. Siggelkow von der Deutschen Gesellschaft für Endokrinologie da sein. Ich habe sie noch nicht gesehen. Sind Sie da, Frau Professor Siggelkow? – Nein. Das ist schade. Vielleicht kommt sie noch. – Herr Dr. Rasch vom vfa ist aber anwesend, zum zweiten Mal heute. Sonst noch jemand, der nicht aufgerufen worden ist? – Das ist nicht der Fall.

Dann würde ich zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer die Möglichkeit geben, auf die wesentlichen Punkte einzugehen. Danach würden wir vielleicht ein, zwei Fragen an Frau Siggelkow stellen können, wenn sie denn noch kommt, und ansonsten an den pU. Wer macht das für den pU? – Herr Hagenlocher, bitte.

**Herr Hagenlocher (Ascendis):** Vielen Dank. – Sehr geehrte Damen und Herren! Sehr geehrter Herr Vorsitzender, Herr Professor Hecken! Mein Name ist Christoph Hagenlocher. Ich leite den Bereich Marktzugang und Gesundheitspolitik bei der Ascendis Pharma in Deutschland, Österreich und der Schweiz.

Ich freue mich sehr, heute auf die wichtigsten Punkte zu unserem Palopegteriparatid und zum Krankheitsbild chronischer Hypoparathyreoidismus einzugehen. Gleich vorweg: Der Begriff Hypoparathyreoidismus wird in der Fachwelt – sprich: von Ärzten und Patienten – so nicht verwendet. Hier spricht man eher vom Hypopara, was für meinen Redefluss und auch meine Zunge wesentlich angenehmer und einfacher ist. Daher würde ich diese Abkürzung verwenden, wenn es für Sie in Ordnung ist, Herr Vorsitzender.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ja, klar.

**Herr Hagenlocher (Ascendis):** Super, danke schön. – Darüber hinaus noch kurz die Frage, Herr Professor Hecken, ob es okay ist, wenn sich meine Kolleginnen und Kollegen kurz selber vorstellen?

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ja, klar. Gerne

**Herr Hagenlocher (Ascendis):** Alles klar. – Dann Kristin Abel, bitte.

**Frau Abel (Ascendis):** Ja, schönen guten Tag! Mein Name ist Kristin Abel von Ascendis Pharma in Dänemark. Ich bin bei Ascendis für die präklinische Entwicklung verantwortlich und war an der Dossiererstellung für Palopegteriparatid beteiligt. Als Auslandsdeutsche freue ich mich besonders, heute hier dabei zu sein, um dieses Produkt, das ja im schönen Heidelberg entstanden ist, hier zu begleiten. – Ich übergebe damit an meine Kollegin Bianca Warmbold.

**Frau Warmbold (Ascendis):** Schönen guten Morgen! Mein Name ist Bianca Warmbold, und ich bin seitens Ascendis zuständig für den AMNOG-Prozess und somit auch für das Palopegteriparatid-Dossier. – Ich übergebe an meinen Kollegen Herrn Klisch.

**Herr Klisch (Ascendis):** Vielen Dank. – Mein Name ist Christopher Klisch, und ich arbeite bei Ascendis Pharma in der medizinischen Abteilung und verantworte dort den Bereich Hypoparathyreoidismus und Palopegteriparatid.

**Herr Hagenlocher (Ascendis):** Vielen Dank. – Wie man merkt: Der Begriff Hypoparathyreoidismus ist nicht so einfach auszusprechen; deswegen auch die Abkürzung Hypopara. Dann mache ich jetzt weiter und gehe zunächst auf das Krankheitsbild des chronischen Hypopara ein, auf die aktuellen Therapiemöglichkeiten und danach auf unser Produkt Palopegteriparatid.

Zur Krankheit. Der Hypopara ist eine heterogene endokrine Erkrankung, die durch fehlende und unzureichende Längen an Parathormon verursacht wird und zu niedrigen Kalzium- und erhöhten Phosphatwerten im Blut führt. In der Mehrheit der Fälle tritt ein Hypopara sekundär auf, das heißt, er wird im Laufe des Lebens erworben. Knapp 80 Prozent der Fälle entstehen postoperativ, wenn durch Eingriffe im Halsbereich die Nebenschilddrüsen versehentlich entfernt werden oder ihre Funktion verlieren. Weitere, seltener vorkommende Ursachen sind Autoimmunerkrankungen, familiäre Störungen und idiopathische Ursachen. Die Funktion des Parathormons besteht maßgeblich in der Regulation der Konzentration von Kalzium, Phosphat und Calcitriol im Blut sowie in den Knochen. Dadurch hat Parathormon einen direkten Einfluss auf die Funktion von Nieren, Knochen und vielen anderen Organen, die wichtige physiologische Vorgänge des Körpers aufrechterhalten.

Ein zu niedriger Parathormonspiegel kann negative Auswirkungen auf nahezu alle Organsysteme haben und zahlreiche klinische Symptome hervorrufen. Hier kann ich zum Beispiel von einer Patientin berichten, 21 Jahre alt, die immer wieder Krampfanfälle oder Verkrampfungen hatte und aufgrund des Kalziummangels in diese Pfötchenstellung gekommen ist. Sie hat erzählt, dass das eine extremst unangenehme Situation war, sowohl für sie persönlich als auch für die Beteiligten, weil diese nicht wussten, was sie machen konnten. Das tritt plötzlich, unvorhergesehen auf, kann um die 15 Minuten dauern und ist eine extreme Lebens Einschränkung für diese Patienten.

Ein anderes Beispiel. Ein Patient, 49, erzählte uns, dass er, wenn er sich mit Menschen unterhielt und sie ihm einen Namen nannten, diesen nach zwei Sekunden wieder vergessen hatte. Daraufhin hatte er Angst: Oh Gott, ich bekomme Parkinson! Er hatte sich dann aber wieder besonnen und sich gesagt: Ich habe diese Hypopara-Erkrankung, und es war ein Kalziummangel, der vorgeherrscht hat. Viele Patienten berichten auch über das berühmte Vergessen des Essens. Mit unserem Palopegteriparatid konnte in den Studien sehr schnell eine signifikante Verbesserung hergestellt werden.

Die aktuelle Therapie. Die konventionelle Therapie besteht aktuell oft aus sehr hohen Dosen von oralem Kalzium und aktivem Vitamin D. Eine konventionelle Therapie kann das Risiko von Komorbiditäten im Zusammenhang mit Hypopara erhöhen. Eine erhöhte Kalziumausscheidung im Urin erhöht das Risiko für schwerwiegende, chronische Nierenerkrankungen. Um diese hohen Ausscheidungen zu kompensieren, benötigen diese Patienten bis zu 9 Gramm Kalzium, was wiederum die Einnahme von täglich circa 9 bis 18 Brausetabletten aus diesen Stäbchen bedeutet. Die müssen über den Tag eingenommen werden, und das muss jeden Tag gemacht werden. Dadurch erhöht sich wiederum das Risiko für Gefäßerkrankungen, Verkalkungen, zum Beispiel im Gehirn, den Nieren oder dem Herzen, was mit einem erhöhten Risiko für kardiovaskuläre Erkrankungen einhergeht. Patienten, die nicht ausreichend auf die konventionelle Therapie ansprechen oder kontrolliert werden können, sollten darüber hinaus mit einer Parathormon-Substitutionstherapie behandelt werden.

Jetzt kommen wir zu unserem Palopeg. Palopegteriparatid erhielt im November 2023 die Zulassung der Europäischen Kommission und steht seit Markteintritt im Januar 2024 für Patienten mit chronischem Hypopara zur Verfügung. Durch den Einsatz unserer einzigartigen

TransCon-Technologie ist es erstmals gelungen, eine physiologische Hormonersatztherapie für Hypopara zu entwickeln. Palopegteriparatid wird einmal täglich verabreicht und ermöglicht durch die verzögerte Freisetzung des aktiven Parathormons einen stabilen Parathormonspiegel innerhalb des physiologischen Bereichs über 24 Stunden. Da Palopegteriparatid in der Wirkung bioäquivalent zum endogenen Parathormon ist, kann somit die eigentliche endokrine Physiologie wiederhergestellt werden, sprich: Es ist wieder wie vor Beginn der Erkrankung.

Ganz konkret bedeutet dies, dass bei Patienten, die mit der konventionellen Therapie nicht ausreichend kontrolliert werden konnten, die Kalziumhomöostase durch Palopegteriparatid so gut wiederhergestellt werden konnte, dass nicht nur die Dosis der konventionellen Therapie drastisch reduziert werden konnte, sondern fast alle Patienten des Palopegteriparatid-Arms sogar auf eine weitere Einnahme von therapeutischen Kalziumdosen und aktivem Vitamin D verzichten konnten. Dies wiederum kann das Risiko langfristiger Verkalkungen und einer damit einhergehenden Einschränkung der Nierenfunktion bis hin zur Niereninsuffizienz durch die konventionelle Therapie reduzieren.

Der Einfluss von Palopegteriparatid auf den Kalziumhaushalt und die Nierenfunktion konnte in der Placebo-kontrollierten Phase-III-Studie PaTHway eindrucksvoll gezeigt werden. 80 Prozent der Patienten erzielten unter Palopegteriparatid allein bereits normale Serumkalziumspiegel. Darüber hinaus wurde innerhalb von 26 Wochen eine klinisch bedeutsame Verbesserung der Nierenfunktion erzielt, sodass Normwerte für die Kalziumausscheidung im 24-Stunden-Urin erreicht wurden.

Neueste Daten aus der offenen Verlängerung der Zulassungsstudie zeigen, dass zur Woche 52 bzw. Woche 104 eine weitere, klinisch bedeutsame Verbesserung der Filtrationsrate der Niere, auch eGFR genannt, erreicht wurde. Sogar noch deutlicher war dieser Effekt bei Patienten, deren Nierenfunktion zu Beginn der Studie bereits eingeschränkt war, und auch bei Patienten, die in 26 Wochen in der verblindeten Phase zur offenen Verlängerung von Placebo auf Palopegteriparatid umgestellt wurden.

Damit kann unser Palopegteriparatid tatsächlich ersetzen, was den Patienten fehlt. Es ermöglicht hierbei einen aktiven Parathormonspiegel im physiologischen Bereich über 24 Stunden, eine klinisch bedeutsame Verbesserung der Nierenfunktion, Unabhängigkeit von konventioneller Therapie bei neun von zehn Patienten mit Serumkalziumwerten im Normalbereich, eine Normalisierung der mittleren Kalziumausscheidung im 24-Stunden-Urin und eine Verbesserung der Symptome bei guter Verträglichkeit.

Die Erfüllung dieser relevanten Therapieziele ist ein großer Schritt auf dem Weg zu einer erheblichen Verbesserung des Lebens von Patienten mit chronischem Hypopara. Heute gehen wir den nächsten Schritt gemeinsam, indem wir im Rahmen des AMNOG-Verfahrens über die Nutzenbewertung unseres Medikaments Palopegteriparatid sprechen.

Sehr geehrte Damen und Herren, sehr geehrter Herr Vorsitzender Professor Hecken, Palopegteriparatid ist aufgrund der TransCon-Technologie nicht nur ein sehr innovatives Medikament, sondern bietet den Patienten, die an chronischem Hypopara leiden, eine erhebliche Verbesserung ihrer Lebenssituation. Dies erreichen wir, indem wir den Patienten zurückgeben, was ihnen fehlt, nämlich die verzögerte Freisetzung des aktiven Parathormons über 24 Stunden, und das alles aus deutscher Forschung in Heidelberg.

Ich freue mich auf den Austausch mit Ihnen. Meine Kolleginnen und ich sind gerne bereit, in einer munteren Diskussion auf Ihre Fragen im Detail einzugehen. Ich bedanke mich für Ihre Aufmerksamkeit.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ganz herzlichen Dank, Herr Hagenlocher, für diese Einführung. Ich begrüße auch Frau Professor Siggelkow, die zwischenzeitlich unserem Meeting beigetreten ist und auch die Ausführungen gehört hat, in denen Sie, Herr Hagenlocher, die

Therapiesituation vor dem Vorhandensein des heute zur Bewertung anstehenden Wirkstoffs beschrieben haben.

Da möchte ich sofort anschließen. Frau Professor Siggelkow, vielleicht können Sie uns einen Einblick geben, wie sich die Behandlung von Erwachsenen mit Chronischem Hypopara vor dem Hintergrund der aktuellen Versorgungssituation darstellt. Herr Hagenlocher hatte eben über die notwendigen hohen Kalziumdosen und die damit verbundenen Implikationen gesprochen, die in der Vergangenheit hier das Therapiegeschehen geprägt haben. Ich bin sehr interessiert, was Sie uns hierzu aus klinischer Sicht noch vertiefend sagen könnten.

**Frau Prof. Dr. Siggelkow (DGE):** Ja, schönen guten Morgen! Entschuldigung noch mal, dass ich ein bisschen verspätet dazu gekommen bin.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Kein Problem.

**Frau Prof. Dr. Siggelkow (DGE):** Also, Patienten mit Hypoparathyreoidismus haben ja das Problem, dass das Parathormon fehlt, das heißt, das normale Vitamin D, das in aktives Vitamin D umgewandelt werden würde, funktioniert nicht. Das aktive Vitamin D ist dafür verantwortlich, dass Kalzium aus dem Darm resorbiert werden kann. Das heißt, wir brauchen immer diese Kombination des aktiven Vitamin D, damit das Kalzium, was man gibt, dann überhaupt auch aus dem Darm resorbiert werden kann, und wir brauchen natürlich eine ausreichende Menge von Kalzium. Jetzt ist es so: Das ist keine Kalziummangelkrankung. Formal könnten die natürlich mit dem Kalzium aus der Ernährung klarkommen. Es ist aber so, dass man das Kalzium normalerweise einfach gibt, damit man überhaupt eine stabile Situation hat.

Jetzt muss man sagen, dass die Therapie in den USA und in Europa etwas unterschiedlich ist. Die Amerikaner geben sehr, sehr viel Kalzium – also immer 3 Gramm zum Beispiel –, um das Phosphat zu senken – dazu komme ich gleich –, während wir lieber versuchen, das aktive Vitamin D ein bisschen höher und das Kalzium ein bisschen niedriger zu dosieren. Denn das, was die Patienten nach Befragung bei uns am meisten belastet, ist eben diese Kalziumeinnahme. Ich weiß nicht, ob Sie schon mal Kalzium eingenommen haben. Es wird nicht so wahnsinnig gut vertragen. Es macht abdominelle Beschwerden, kann auch Durchfälle machen.

Warum dosieren die Amerikaner das Kalzium höher? Wegen des Phosphates. Die Patienten haben das Problem: Das Parathormon sorgt normalerweise dafür, dass das Kalzium ansteigt, aber das Phosphat niedrig ist. Es erhöht die Phosphatausscheidung über die Niere. Das aktive Vitamin D, das wir ja bei der konventionellen Therapie geben, erhöht auch das Kalzium – das ist schon mal super –, aber es erhöht auch das Phosphat. Das heißt: Sie haben insgesamt einen höheren Kalziumwert – super! –, aber leider auch einen höheren Phosphatwert. Und wir wissen aus den ganzen klinischen Untersuchungen der Komplikationen dieser Patienten, dass dieses Phosphat ein Problem darstellt. Deshalb versuchen die Amerikaner, ihnen gleichzeitig zum Essen immer das Kalzium zu geben, weil es das Phosphat bindet, sodass das Phosphat nicht so hoch ist. Deshalb haben diese Patienten halt höhere Kalziumwerte. Also: Diese Kalziumeinnahme stellt für viele Patienten ein Problem dar. Aber wir brauchen das eben zum Teil, um die Therapie so zu gestalten. Das ist die konventionelle Therapie.

Wir haben bei uns aktuell 120 Patienten mit Hypoparathyreoidismus in der Kontrolle, und viele kommen relativ gut mit einer niedrig dosierten Therapie zurecht, muss man sagen. Also, nicht alle haben totale Probleme; einige kommen mit der Therapie ganz gut zurecht. Und wenn man überlegt, warum das wohl so ist, liegt es möglicherweise an der Restsekretion von Parathormon. Einige haben natürlich noch Parathormon – die kommen wahrscheinlich besser zurecht –, und einige haben einfach fast gar nichts mehr. Und das sind oft die, die viele Probleme machen.

Ich weiß nicht: Hilft das schon so ein bisschen, Herr Hecken? Ich kann gerne noch mehr darüber erzählen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Nein, nein, danke schön, das hilft schon. Ganz herzlichen Dank. Ich war nur gerade noch stummgeschaltet, weil ich mir noch „Restsekretion vorhanden“ aufgeschrieben hatte. – Wer hat eine Frage aus dem Kreis der Patientenvertreter, des IQWiG oder der Bänke? – Keiner?

**Frau Prof. Dr. Siggelkow (DGE):** Ich kann auch gern so noch etwas erzählen.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herr Telschow hat sich gemeldet und dann Frau Sieger. Danach sind Sie wieder dran, Frau Professor Siggelkow. Ich nehme an, die Frage geht sowieso an Sie. – Herr Telschow, KBV.

**Herr Telschow (KBV):** Ja, vielen Dank. Genau, die Frage geht an Frau Siggelkow. – Wir haben ja das Parathormon auch verfügbar als Substitutionshormon, was ja jetzt mit dem Natpar wahrscheinlich demnächst aus dem Handel gehen wird, wenn man den Rote-Hand-Brief dazu sieht. Wie ist denn nach Ihrer Einschätzung der Stellenwert des neuen Wirkstoffs im Vergleich zu dem Parathormon einzuschätzen? Gibt es da schon erste klinische Erfahrungen mit dem Palopegteriparatid?

**Frau Prof. Dr. Siggelkow (DGE):** Vielen Dank für die schöne Frage. Das ist eine sehr gute Frage. – Damit alle wissen, wie das einzuschätzen ist: Von unseren 120 Patienten haben wir ungefähr 24 Patienten auf Natpar, also auf dieses alte Präparat, eingestellt. Das liegt daran, dass wir, weil ich ein bisschen spezialisiert bin auf diesen Bereich, Patienten aus ganz Deutschland betreuen. Also, das ist jetzt nicht das normale Umfeld von 150 Kilometern, sondern das sind Patienten aus ganz Deutschland, weil das oft sehr komplizierte Patienten sind, die am Magen-Darm-Trakt operiert sind, die Adipositas-Operationen oder chronisch-entzündliche Darmerkrankungen haben. Die haben immer irgendwelche anderen Zusatzerkrankungen, die das dann kompliziert machen. Das heißt: Weil ich Sorge hatte, alle diese Patienten innerhalb eines Jahres umstellen zu müssen, haben wir uns schon für das Compassionate-Use-Programm beworben und haben jetzt schon über 15 Patienten auf das neue Präparat umgestellt.

Was kann ich schon sagen? Ich habe ja nicht an den Studien teilgenommen, aber aus der Erfahrung, die wir jetzt haben, kann ich sagen: Für die Patienten ist es – das ist vielleicht banal – einfach ein großer Vorteil, dass es nicht gekühlt werden muss, wenn es gebraucht wird. Das ist unfassbar viel einfacher. Was noch viel einfacher ist, ist, dass die Umstellung besser wird. Sie wissen, Natpar hat eine Halbwertszeit von drei Stunden. Das war zwar zugelassen für einmal am Tag, aber natürlich sind viele mit dieser Gabe einmal am Tag gar nicht gut hingekommen, weil sie dann über Nacht Probleme hatten. Das heißt, die Einstellung musste dann sehr kompliziert erfolgen. Auch die Umstellung war sehr kompliziert. Dadurch, dass das Palopegteriparatid die maximale Wirkung nach sieben Tagen erreicht und eine Halbwertszeit von 60 Stunden hat, ist es sehr viel einfacher zu applizieren. Man kann nicht nachapplizieren, man muss es halt wirklich nur einmal applizieren. Es ist einfach so: Es wird eine relativ stabile Situation erreicht, und diese stabile Situation merken die Betroffenen auch.

Ein Teil der großen Beschwerdelast sind wahrscheinlich auch diese schwankenden Kalziumwerte, die im Verlauf des Tages auftreten, wovon sie abhängig sind. Durch die lange Halbwertszeit ist es jetzt sehr viel konstanter. Ein Teil der Beschwerden wird dadurch auch deutlich besser. Und man muss sagen: Die Einstellung ist insgesamt einfacher. Die Zahl der Kontrollen wird insgesamt sicher nicht so hoch sein wie bei der Umstellung von Natpar.

Wir haben natürlich auch Daten dazu. Wir haben relativ gut dokumentiert, was sich verändert. Ich kann schon definitiv sagen: Was sich an den Laborwerten verändert hat, ist auf jeden Fall der Magnesiumstoffwechsel. Mir war gar nicht so klar, dass Parathormon so einen extremen Effekt auf die Magnesiumausscheidung hat. Das ist zwar auch publiziert, aber ein Teil der

Betroffenen hat auch einen relativ starken Magnesiumverlust. Durch den Mangel an Parathormon ist der Magnesiumbedarf sehr hoch. Was man sieht, ist: Die Magnesiumausscheidung nimmt ab und auch der Magnesiumbedarf. Auch der Serumspiegel steigt an. Wir haben doch einige Patienten, bei denen wir regelmäßig Magnesiuminfusionen machen müssen, weil sie durch Magen- oder Darmoperationen nicht mehr ausreichend Magnesium aufnehmen. Also, da sieht man auch schon Veränderungen bei den Laborwerten. Und die Kalziumausscheidung im Urin – das sehen wir auch schon nach drei Monaten – geht natürlich runter.

Im Vergleich zu Natpar – es wird ja Ende des Jahres nicht mehr verfügbar sein – sieht man, dass sich durch die Umstellung auf Palopepteriparatid auch metabolisch noch deutlich etwas verbessert. Das muss man einfach so sagen. Auch die Anwendung ist ein bisschen angenehmer; das kann man so sagen. Zu dieser Sicherheitsnadel, die dafür zur Verfügung steht, sagen einige, dass sie sie im Vergleich zu den anderen Nadeln gar nicht merken. Das wird auch als relativ angenehm empfunden. – Das als erste Rückmeldung dazu.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Herzlichen Dank, Frau Professor Siggelkow. – Herr Telschow, Frage beantwortet?

**Herr Telschow (KBV):** Ja, vielen Dank.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Dann würde ich weitergeben an Frau Sieger von der Patientenvertretung. – Bitte schön, Frau Sieger.

**Frau Sieger (PatV):** Vielen Dank. – Ich möchte noch einmal unterstreichen, was Frau Professor Siggelkow gesagt hat. Mit der Standardtherapie kommen tatsächlich viele von uns einigermaßen klar. Es ist aber andererseits ein Eiertanz, weil man das Kalzium ständig am unteren Normrand einstellen muss, damit es nicht zu viel Kalziumausscheidung im Urin gibt. Dadurch sind zum Beispiel Hyperventilationssituationen schnell da. Es ist nicht ganz einfach. Dann muss man sich unter Umständen phosphatarm ernähren. Unser Bundesverband hat dazu eine Broschüre herausgebracht, um das Problem ein bisschen zu erklären und zu unterstützen.

Das erhöhte Phosphat kann auch ein ganz lästiges Problem sein. Insbesondere die Kalziumpräparate sind bei der Standardtherapie ein Problem, was meines Erachtens oft noch unterschätzt wird. Wie gesagt – auch Professor Siggelkow sagte es –: Nehmen Sie mal morgens und abends eine Kalziumbrause, aber nicht nur eine Woche, sondern Ihr Leben lang. Das Angebot an Kalziumpräparaten ist leider auch nicht so, wie wir es gerne hätten, nämlich niedrig dosiert. Auch die verschiedenen Kalziumverbindungen kommen, was die Verträglichkeit angeht, sehr verschieden bei den Patienten an.

Nur als kleiner Hinweis, wie groß das Problem ist: Ich mache jetzt seit 20 Jahren die Arbeit in der Selbsthilfe. In unserem Internetforum vom Bundesverband Schilddrüsenkrebs – Sie kennen es sicherlich – gab es, solange da gezählt wurde, zum Thema „Probleme mit Kalziumpräparaten bei Hypoparathyreoidismus“ bei meinem letzten Vortrag – das war 2015 in Halle – schon über 50 000 Anfragen. Über 50 000 Patientinnen und Patienten fragten an: Wie mache ich es denn mit diesen blöden Kalziumtabletten? Es ist ein ernsthaftes Problem – Frau Professor Siggelkow sagte es –, dass insbesondere wenn die Parathormon-Produktion gar nicht mehr oder kaum noch da ist, mit der Standardtherapie nur sehr schwer zu bewältigen ist. Ich weiß auch, dass die Leute, die auf Natpar sind und die unheimlich dankbar waren, dass es Natpar gab, jetzt schon ziemlich in Panik geraten, weil sie wissen, dass sie mit der Standardtherapie nicht zurechtkommen werden. Von daher waren wir sehr froh, als Ascendis jetzt die Zulassung erhielt.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön für diese Anmerkung, Frau Sieger. Weitere Fragen? – Ich sehe, Frau Professor Siggelkow hat noch die Hand oben.

**Frau Prof. Dr. Siggelkow (DGE):** Genau. – Ich würde sonst auch gerne noch etwas ergänzen, weil ich noch nicht weiß, ob das erwähnt worden ist. Insgesamt muss man natürlich sagen, dass das nach wie vor das einzige Organ ist, das wir nicht mit dem Hormon ersetzen. Das ist natürlich bei Endokrinologen ein Thema. Man muss das einfach noch einmal realisieren. Das betrifft auch das ganze System der Berentung dieser Betroffenen. Ich als Endokrinologe bin damit aufgewachsen: Ach, die kann man doch einstellen, das ist kein Problem. Aber wenn man weiß, dass diese Patienten ein signifikant erhöhtes Risiko für Nierensteine haben, für Niereninsuffizienz, Katarakt, Krampfanfälle, ischämische Herzerkrankungen, Depressionen, Infektionen und dass die Mortalität erhöht ist – das ist in mehreren Metaanalysen nachgewiesen worden – dann muss man diese Patientengruppe einfach viel ernster nehmen, ernster, als auch meine endokrinologischen Kollegen das immer noch gerne tun.

Das ist mir wirklich ganz wichtig. Ich bin natürlich darauf spezialisiert, aber ich kann nur sagen: Diese Patientengruppe ist, was die Beschwerdelast angeht, absolut unterschätzt. Deshalb ist es eine wirklich gute Entwicklung, dass wir diese Möglichkeiten überhaupt zur Verfügung haben für die Patienten, die sehr stark darunter leiden oder gefährdet sind. Das sind nicht alle, aber ein Teil davon schon.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön für diese Ergänzung. – Jetzt habe ich noch Frau Brüggmann. Bitte schön.

**Frau Brüggmann:** Ja, danke schön für die Gelegenheit, dass auch ich mich dazu äußern darf. Als Patientin möchte ich noch mal darauf aufmerksam machen: Im Vergleich zu einer Diabeteserkrankung oder zu sonstigen Erkrankungen, bei denen man den fehlenden Wert selbst zu Hause messen kann, ist das beim Kalzium nicht so. Das heißt, es kommt auch die „Unsicherheit“ – in Anführungsstrichen – hinzu. Man merkt es, wenn man krampft, und man merkt es vor allen Dingen an diesem landläufig so bezeichneten Brain Fog – dass man also irgendwie kopflos durch die Gegend läuft –, wenn der Kalziumspiegel zu niedrig ist. Man kann das einem gesunden Menschen kaum beschreiben, aber es ist wirklich sehr, sehr unangenehm und mindert die Lebensqualität. Also wirklich: Ein bisschen Sport, ein bisschen Gartenarbeit, und – zack! – schon muss man unter Umständen, wenn es dazu noch warm ist, noch eine Kalziumtablette zusätzlich nehmen. Und das Angebot an den verschiedenen Dosierungen von Kalziumtabletten in Deutschland ist tatsächlich sehr überschaubar.

Das nur als kurze Anmerkung. Es ist wirklich ein Segen des Himmels, einmal am Tag eine ungekühlte Spritze nehmen zu können und damit dann ein normaleres Leben zu führen. – Danke schön.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Danke schön, Frau Brüggmann. Dann bitte weitere Wortmeldungen. – Ich sehe niemanden mehr. Dann würde ich Herrn Hagenlocher noch mal die Möglichkeit geben, zusammenzufassen, auf die aus seiner Sicht wesentlichen Punkte hinzuweisen. Dann könnten wir diese Anhörung beenden. – Herr Hagenlocher, Sie haben das Wort.

**Herr Hagenlocher (Ascendis):** Herzlichen Dank, Herr Professor Hecken. Vielen Dank auch an alle Beteiligten für den sehr guten, munteren, kurzen, intensiven Austausch zu den Punkten einfache Applikation unseres Produktes, keine Kühlung, Halbwertszeit von 60 Stunden. Was heute noch mal schön rauskam – Frau Professor Siggelkow hat es erwähnt –, ist die unterschätzte Beschwerdelast, die diese Patienten haben. Das ist uns heute auch noch mal bewusster geworden.

Insgesamt sehen wir: Mit Palopegteriparatid haben wir jetzt eine sehr gut verträgliche und wirksame Therapie parat, die den Betroffenen und ihren Familien eine enorme Lebensverbesserung ermöglicht und die Belastungen durch die bisherigen Therapien signifikant und spürbar senkt. Somit ist Palopegteriparatid eine große Chance – wie ich eben gelernt habe, ein „Segen des Himmels“ – für Menschen, die an chronischem Hypopara leiden,

und das alles Made in Germany, Heidelberg. – Vielen Dank an alle Beteiligten für diese stets konstruktive Diskussion. Danke schön.

**Herr Prof. Hecken (Vorsitzender):** Ja, ganz herzlichen Dank. Ich bedanke mich bei Ihnen, bedanke mich natürlich auch bei unserer Expertin und bei denjenigen, die Fragen und Beiträge geleistet haben. Wir werden das, was hier besprochen worden ist, in unsere Diskussion einbeziehen.

Damit beende ich diese Anhörung, wünsche denen, die uns verlassen, einen schönen Resttag. Wir machen dann weiter in exakt 15 Minuten. Bis dahin unterbreche ich die Sitzung. – Danke schön und dann bis gleich.

Schluss der Anhörung: 11:15 Uhr