

Mündliche Anhörung

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

hier: Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor (D-985, D-1018, D-1019, D-1020, D-1021)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 8. April 2024
von 15:00 Uhr bis 15:30 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Vertex Pharmaceuticals (Germany) GmbH:**

Frau Dr. Iloff

Frau Dr. Kräss

Herr Dr. Stemmer

Herr Heyne

Angemeldete Teilnehmende der **Gesellschaft für Pädiatrische Pneumologie (GPP):**

Frau Dr. Hammermann

Frau PD Dr. Schmitt-Grohe

Frau Prof. Dr. Brinkmann

Frau Prof. Dr. Dittrich

Frau Prof. Dr. Stahl

Angemeldeter Teilnehmender des **BIO Deutschland e. V.:**

Herr Peikert

Angemeldeter Teilnehmender des **Bundesverbandes der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI):**

Herr Dr. Wilken

Angemeldeter Teilnehmender des **Verbandes Forschender Arzneimittelhersteller (vfa):**

Herr Dr. Rasch

Beginn der Anhörung: 15:00 Uhr

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Wir haben wieder Montag, Anhörungstag. Wir sind jetzt bei Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor bei den Dossiers D-958, D-1018, D-1019, D-1020, D-1021. Wir beschäftigen uns mit der zystischen Fibrose mit F508del-Mutation im CFTR-Gen, hier konkret die Altersgruppe von zwei bis fünf Jahren.

Basis der heutigen Anhörung ist die Dossierbewertung des IQWiG vom 23. Februar dieses Jahres, zu der Stellung genommen haben: zum einen Vertex als pharmazeutischer Unternehmer, die Gesellschaft für Pädiatrische Pneumologie, Bio Deutschland e. V., der Verband Forschender Arzneimittelhersteller und der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Vertex Pharmaceuticals müssten anwesend sein Frau Dr. Iloff, Frau Dr. Kräss, Herr Dr. Stemmer und Herr Heyne, für die Gesellschaft für Pädiatrische Pneumologie Frau Dr. Hammermann, Frau PD Dr. Schmitt-Grohe, Frau Professor Dr. Brinkmann – sie habe ich nicht gesehen –, Frau Professor Dr. Dittrich und Frau Professor Dr. Stahl, für den BIO Deutschland e. V. Herr Peikert – er fehlt –, für den Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie Herr Dr. Wilken und für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller Herr Dr. Rasch. Ist noch jemand in der Leitung, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich gebe zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer die Möglichkeit, einzuführen. Die Frage, die wir diskutieren müssen, ist Evidenztransfer, yes or no? Dann würden wir in die Frage-und-Antwort-Runde eintreten. Herr Stemmer, Sie haben das Wort.

Herr Dr. Stemmer (Vertex Pharmaceuticals): Sehr geehrter Herr Vorsitzender! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank für die Gelegenheit zu einer kurzen Einleitung. Ich möchte Ihnen zu Beginn meine Kolleginnen und Kollegen vorstellen. Frau Dr. Kräss verantwortet bei uns im Market Access das Dossier, Frau Dr. Iloff vertritt die Medizin, und Herr Heyne ist Statistiker. Ich bin Volker Stemmer, ich leite Market Access bei Vertex in Deutschland. Wie Sie einführend gesagt haben, reden wir heute über die Dreifachkombination Ivacaftor/Tezacaftor/Elexacaftor bei Kindern im Alter von zwei bis fünf Jahren mit zystischer Fibrose und mindestens einem F508del-Allel.

Dieses Arzneimittel wurde hier schon verschiedene Male diskutiert. Es dient der Behandlung der zystischen Fibrose. Diese wird durch eine Mutation im CFTR-Gen verursacht, die zu einer fehlenden oder mangelhaften Funktion des gleichnamigen Proteins führt. Die häufigste Mutation ist genau diese F508del-Mutation, die ich im Folgenden mit F abkürzen werde.

Das CFTR-Protein selbst steuert die Wasser-Salz-Regulation an der Oberfläche vieler Organe, darunter die Atemwege, der Darm und die Bauchspeicheldrüse. Die Krankheit betrifft somit viele Organe, wobei der fortschreitende Verlust der Lungenfunktion die Hauptursache für die hohe Sterblichkeit dieser Patienten ist. Die Dreifachkombination hat die Behandlung dieser Patienten revolutioniert. Dies hat der G-BA in früheren Verfahren mit einem erheblichen Zusatznutzen für die Mehrheit der Patienten gewürdigt.

Die Neuzulassung und der Zusatznutzen im Dossier basieren auf einer einarmigen Studie und einem Evidenztransfer. Die Dreifachkombination bewirkte in der Studie unter anderem eine Verbesserung der CFTR-Funktion, der Lungenfunktion, der Pankreasfunktion sowie eine

Stabilisierung der körperlichen Entwicklung der Patienten. Das IQWiG erachtet den Ansatz eines Evidenztransfers als grundsätzlich nachvollziehbar, kritisiert aber die Aufarbeitung der Studiendaten. Diese Aufarbeitung wurde mit der Stellungnahme entsprechend überarbeitet.

Die Ergebnisse der Altersklassen zeigen aus unserer Sicht für die Patienten mit Mutation FF und FMF gleichgerichtet positive Effekte. Die Ableitung eines Zusatznutzens ist daher für diese Patienten möglich und entspricht der Vorgehensweise des G-BA in früheren Verfahren. In der Studie konnten keine Patienten mit weniger häufigen Mutationen eingeschlossen werden. Die EMA hat sich daher mit der Frage eines mutationsübergreifenden Evidenztransfers beschäftigt und diesen ausdrücklich befürwortet. Bei einem ausreichend großen Therapieeffekt auf das F508del-Protein ist ein solches Allel für einen erheblichen Nutzen ausreichend, unabhängig von der Mutation auf dem zweiten Allel.

Ein zusätzliches Ansprechen auf das zweite Allel bzw. ein Genprodukt verstärkt die Wirkung. Ein Evidenztransfer der Ergebnisse für FMF-Patienten auf Patienten mit weniger häufigen Mutationen, also FRF, F-Gating und F-andere, ist daher als konservative Schätzung des Zusatznutzens möglich. Konservativ deshalb, weil bei MF kein oder kein korrektes CFTR-Protein hergestellt wird und der Therapieeffekt somit allein auf der Wirkung auf F508del beruht. Ein alters- und mutationsübergreifender Evidenztransfer ist daher angezeigt, wodurch sich für alle Patienten ein bedeutender Zusatznutzen ergibt.

Wir bitten den G-BA, zusätzlich zu prüfen, ob die Unterteilung in fünf Anwendungsgebiete weiterhin notwendig ist. Aus unserer Sicht bildet ein einziges Anwendungsgebiet, sprich: Kinder im Alter von zwei bis fünf Jahren mit zystischer Fibrose und mindestens einem F508del-Allel, den medizinischen Stand sinnvoll ab. Eine Unterscheidung in Anwendungsgebiete ist aus unserer Sicht nicht erforderlich. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank für diese Einführung, Herr Dr. Stemmer. Ich stelle für das Protokoll fest, dass sowohl Frau Professor Dr. Ditrtrich als auch Frau PD Dr. Schmitt-Grohe mittlerweile zugeschaltet sind, schaue in die Runde und frage, wer Fragen hat. Wer möchte beginnen? – Frau Preukschat vom IQWiG. Bitte schön, Frau Preukschat.

Frau Preukschat: Ich würde gerne einige grundsätzliche Dinge sagen und darauf eingehen, inwieweit mit der Stellungnahme des pharmazeutischen Unternehmers unsere Kritik aus der Dossierbewertung adressiert wurde. An den vielen Projekten, die wir in der Indikation zystische Fibrose in der Vergangenheit besprochen haben, ist zum Teil deutlich geworden, dass wir hier eine der zum Glück seltenen Situationen haben, dass wir Abweichungen im Vorgehen des G-BA gegenüber den IQWiG-Bewertungen haben. Das heißt, der G-BA hat in der Vergangenheit in dieser Indikation des Öfteren Ergebnisse älterer Altersgruppen im Sinne eines Evidenztransfers in die Bewertung einbezogen, wo wir im IQWiG in der Dossierbewertung gesagt haben, das würden wir nicht tun, die vorgelegten Daten reichen uns nicht. Das sagen wir auch hier wieder. Ich möchte gerne einige grundsätzlichen Punkte ansprechen und vor allen Dingen auf die Anwendungsgebiete A, das heißt, die 508del-Heterozygoten mit der MF-Mutation, und B, das heißt die Homozygoten, konzentrieren, weil ich glaube, dass in den restlichen Anwendungsgebieten C, D und E relativ klar ist und in der Vergangenheit auch dem G-BA klar war, dass wir hier einen mutationsübergreifenden Evidenztransfer nicht durchführen.

Nun zu den Anwendungsgebieten A und B, in denen wir die Situation haben, die wir schon des Öfteren hatten: Das heißt, wir haben eine RCT in den höheren Altersgruppen, in der sich ein Zusatznutzen gezeigt hat, in beiden Fällen unter anderem vor allem bei den pulmonalen Exazerbationen im Anwendungsgebiet A bei den Sechs- bis Elfjährigen, in einer RCT im Anwendungsgebiet B, den Homozygoten, bei den über Zwölfjährigen. Wir haben die Situation, dass wir jetzt für die Altersgruppe, die hier Bewertungsgegenstand ist, einarmige Daten zur Interventionsseite haben. Was der pharmazeutische Unternehmer nun macht, ist, dass er mit seiner Argumentation auf diese einarmige Studie schaut, auf die Vorher-Nachher-Effekte

gegenüber Baseline in diesen einarmigen Studien abhebt und sagt, diese sind im Großen und Ganzen mit den Effekten bei den Älteren gleichgerichtet, und man kann den Evidenztransfer vornehmen. Das ist jetzt verkürzt wiedergegeben, aber wir haben Ihre Argumentation wirklich im Detail gelesen.

Was wir nun sagen, ist Folgendes: Unsere Fragestellung in der Nutzenbewertung ist immer eine vergleichende, das heißt, man muss sich anschauen, welche Daten wir in der interessierenden Altersgruppe nicht nur auf Interventionsseite haben, sondern ob und wenn ja, was wir auf zVT-Seite haben. Dazu ist der erste Schritt: Man muss nach Literatur suchen. Das hat der pharmazeutische Unternehmer aufgegriffen. Er hat im Rahmen der Stellungnahme nach Literatur gesucht. Wenn man Evidenz findet – das ist auf jeden Fall, ich denke, da sind wir uns einig, in dem Anwendungsgebiet B der Fall, wo wir Evidenz zur zweckmäßigen Vergleichstherapie Lumacaftor haben –, dann muss man diese Daten neben die einarmigen Daten der Intervention legen und mögliche Störgrößen diskutieren. Das ist aus unserer Sicht grundsätzlich die ideale Ausgangslage für einen Evidenztransfer RCT bei den Älteren und jeweils einarmige Studien bei der Altersgruppe, die Bewertungsgegenstand ist.

Genau dasselbe haben wir seinerzeit bei den Sechs- bis Elfjährigen bei der Bewertung der 508del-Homozygoten im vorangegangenen Verfahren diskutiert. Da hatten wir exakt die gleiche Argumentation, die gleiche Problemlage. Wir haben in dieser Bewertung umfangreich kritisiert, dass der Hersteller dort nicht die Daten zur zVT aufgearbeitet hat. Vor dem gleichen Problem stehen wir jetzt eins zu eins wieder. Er hat in der Stellungnahme nach Daten zur zVT gesucht. Er hat sie für das Anwendungsgebiet B gefunden. Zum Anwendungsgebiet A würde ich gerne später noch etwas sagen. Aber er hat diese nicht so aufgearbeitet, dass wir jetzt datenbasiert eine Entscheidung treffen können, ob hier ein Evidenztransfer möglich ist, ja oder nein.

Ich würde in dem Kontext gern noch etwas dazu sagen, weil in der Stellungnahme stand, wir würden indirekte Vergleiche ohne Brückenkomparator grundsätzlich nicht akzeptieren. Es wurde auf das Methodenpapier verwiesen. Das ist so nicht richtig. Sie haben in diesem Verfahren seinerzeit zu den Sechs- bis Elfjährigen diesen adjustierten indirekten Vergleich einzelner Arme vorgelegt. Das ist etwas, was für uns grundsätzlich denkbar ist, vielleicht auch als Unterstützung für so einen Evidenztransfer. Wir lehnen das nicht grundsätzlich ab. Sowohl wir als auch der G-BA haben es auch damals nicht grundsätzlich abgelehnt, sondern das Problem war, dass dort keine adäquate Aufbereitung erfolgt ist. Das heißt, das, was ich vorhin beschrieben habe, dieses Gegenüberstellen der Charakteristika, der Ergebnisse, eine Diskussion der Störgrößen, wie sie für einen Vergleich einzelner Arme nötig ist, ist dort nicht erfolgt. Mir ist es wichtig zu sagen, dass es unsererseits nicht eine grundsätzliche Ablehnung gibt.

Das heißt zum Anwendungsgebiet B: Die Infobeschaffung zur zVT ist erfolgt, sehr gut. Der erste Kritikpunkt unsererseits wurde adressiert, aber die gefundenen Studien wurden in der Stellungnahme nicht derart aufbereitet und diskutiert, dass wir beurteilen könnten, ob hier ein Evidenztransfer möglich ist oder nicht.

Kurz noch einige Worte zum Anwendungsgebiet A: Dort wurde nach der zVT gesucht, die hier BSC ist. Auch dieser Kritikpunkt wurde somit behoben. Es wurden Studien gefunden, beispielsweise die Studie von Frau Stahl, 2021 publiziert, in der gesagt wird, die sind nicht geeignet, um Daten zu BSC in der relevanten Altersgruppe zu liefern. Dazu würde ich gerne grundsätzlich die Anregung geben: Wir denken, dass diese Studie eine relevante Teilpopulation enthält und dass der pharmazeutische Unternehmer auf Frau Stahl zugehen, vielleicht auch etwas Geld in die Hand nehmen und Daten zum Verlauf unter BSC für die Altersgruppe, um die es hier geht, aus diesem Datensatz generieren könnte.

Wir sehen, wenn wir in die Publikation schauen, dass die Patienten, die uns im Anwendungsgebiet A interessieren, die heterozygoten mit MF-Mutationen, in diesem Datensatz enthalten sind. Wir sehen, dass es Ergebnisse zu pulmonalen Exazerbationen gibt.

Das heißt, auch hier wäre es aus unserer Sicht möglich, für unsere Grundanforderungen, die wir für den Evidenztransfer haben – wir wollen uns nicht nur anschauen, was auf der Interventionsseite, sondern auch, was auf der Vergleichsseite passiert –, Daten für das Verfahren zu generieren. Das einmal vorab. Ich habe soweit ansonsten keine Fragen mehr.

Vielleicht eine Frage an den pU: Er hat diesen Kritikpunkt der Informationsbeschaffung adressiert. Wir haben uns sehr bemüht, zu beschreiben, worum es uns geht, sowohl damals bei den Sechs- bis Elfjährigen, als auch jetzt wieder. Ich würde gerne fragen, ob ein Verständnisproblem besteht, dass es mit der Stellungnahme für uns so schwer ist, die Aufarbeitung der Daten zu bekommen, die wir gerne hätten. Wenn es dahin gehend Verständnisprobleme gäbe, würde ich gerne diese Anhörung nutzen wollen, um das zu klären. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. Frau Preukschat. – pU? – Herr Stemmer hat sich gemeldet. Bitte.

Herr Dr. Stemmer (Vertex Pharmaceuticals): Erst einmal bedanke ich mich für die ausführliche Erläuterung. Ich denke, wir haben Verständnis ... (akustisch unverständlich) auch zu Vergleich und Aufarbeitung der Daten im Anwendungsgebiet B erhalten. Wir schauen, was wir innerhalb der Kürze der Zeit diesbezüglich noch auswerten, aufarbeiten können und Ihnen entsprechend nachliefern.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke. – Jetzt bitte Frau Bickel von der KBV. – Frau Stahl haben wir auch dabei. – Bitte.

Frau Bickel: Vielen Dank. Ich habe eine Frage an die Kliniker: Im Anwendungsgebiet A, das Frau Preukschat angesprochen hat, in dem BSC die zweckmäßige Vergleichstherapie ist, sind die Patienten, die noch Minimalfunktionen haben. Wie würden Sie therapieren? Würden Sie mit BSC therapieren? Oder würden Sie eine aktive Therapie anstreben, wie sie hier vorgesehen ist?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Frau Dittrich hat sich gemeldet, und Frau Stahl hat sich bewegt. Das nehme ich einmal als Wortmeldung. Ich sehe keine gehobene Hand. Aber Frau Dittrich, bitte.

Frau Prof. Dr. Dittrich (GPP): Die Frage ist nicht „würde“, sondern was wir tun. Wir behandeln alle diese Patienten ohne Frage bereits zusätzlich mit einer CFTR-funktionsverbessernden Therapie, weil wir die Effekte aus der älteren Altersgruppe kennen. Wir kennen die Effekte auf funktioneller Ebene sehr gut. Dazu haben wir sehr viele Untersuchungen gemacht. Wir wissen, dass dieses Präparat deutlich potenter ist als alle Vorgängerpräparate. Einige von uns haben an der einarmigen Studie teilgenommen und die Verbesserung gesehen, die diese Therapie bei diesen kleinen Kindern bewirken kann. Insofern würde ich davon ausgehen, dass inzwischen an den vier großen Zentren, an denen wir die Therapie haben und von denen Ambulanzleiterinnen anwesend sind, außer die Eltern wünschen dies nicht, alle Patienten mit diesen Präparaten zusätzlich zu BSC behandelt werden. Wir haben inzwischen zumindest bei den Großen seit 2020 langjährige Erfahrung, dass sich die Lebensdauer dieser Patienten – und das ist etwas, was sich in einer klinischen Studie nur sehr schwer messen lässt, wenn wir von einer Lebensdauer von aktuell 50 Jahren ausgehen – um mindestens eine, wenn nicht gar zwei bis drei Dekaden verlängern lässt. Das können Sie in einer klinischen Studie nicht testen, ist aber ein höchst patientenrelevanter Endpunkt.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank. Ich würde jetzt in der Reihenfolge mit Frau Stahl, Frau Brinkmann und Frau Hammermann vorgehen. Frau Stahl bitte.

Frau Prof. Dr. Stahl (GPP): Ich schließe mich dem an, was Frau Dietrich ausgeführt hat. Wir sehen bei den Patienten sehr gute Effekte, auch schon bei den Zwei- bis Fünfjährigen, und das neben dem, was man auch bei älteren Kohorten beobachten kann, nicht nur auf die CFTR-Funktion unmittelbar, das heißt auf den Schweißtest in höherem Ausmaß als bei älteren Patienten und auch auf die Lunge, sondern wir sehen auch die Chance, die exokrine

Pankreasfunktion zu retten. Das ist bei den sehr jungen Patienten in der Altersgruppe noch möglich, bei den älteren, sage ich einmal salopp, ist dieser Zug abgefahren. Das heißt für uns, wenn nicht irgendwelche Gründe, sprich: vor allem die Eltern möchten es nicht, dagegen sprechen, setzen wir jeden dieser Patienten auf diese Therapie.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Stahl. – Dann Frau Hammermann und Frau Brinkmann.

Frau Dr. Hammermann (GPP): Ich kann mich den beiden Vorrednerinnen nur anschließen. Was die großen Zentren in Deutschland angeht, ist es eigentlich keine Frage, das so zu machen. Wir haben neben den angesprochenen Parametern, die wir messen können, noch die sehr vielen weichen Parameter, die schwierig sind, in Studien zu fassen. Wenn aber eine Mutter zu mir sagt, der kann plötzlich rennen, der spielt den ganzen Nachmittag, anstatt sich ins Bett zu legen, dann sind das Dinge, die wir sehen, die wir Ihnen schwer als Studie präsentieren können, die aber extrem viel Bedeutung für die Familien haben.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Hammermann. Entschuldigung, dann haben wir Frau Brinkmann. Ach ja, sie fehlt. – Frau Bickel hat eine Nachfrage.

Frau Bickel: Vielen Dank. Habe ich das richtig vernommen? Je eher man therapiert, desto besser ist es. Man sollte mit dieser Therapie bei der Mukoviszidose im Anwendungsgebiet A so früh wie möglich beginnen. – Dann habe ich noch eine Nachfrage zum Anwendungsgebiet B.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Dann machen Sie das sofort.

Frau Bickel: Im Anwendungsgebiet B sind es die Homozygoten. Da ist die zweckmäßige Vergleichstherapie Lumacaftor/Ivacaftor. Wie behandeln Sie die Patienten mittlerweile? Nehmen Sie die Dreiertherapie, die wir gerade bewerten, oder Lumacaftor/Ivacaftor?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ich sehe bei den Behandlerinnen, die ich vor mir sehe, jetzt fröhliche Gesichter, die ich aber nicht deuten kann, ob das ja, nein, vielleicht oder ich weiß es nicht ist. Frau Stahl, Sie heben die Hand. Bitte.

Frau Prof. Dr. Stahl (GPP): Man kann wieder die Antwort geben, die wir eben schon gegeben haben. Wenn die Eltern nicht dagegensprechen, setzen wir diese Patienten alle auf die Dreifachtherapie um. Der Hintergrund ist der, dass wir von älteren Patienten wissen, dass die Verbesserung der CFTR-Funktion unter der Dreifachtherapie besser ist als unter der Zweifachtherapie. Daher wollen wir die effektivere Therapie für diese Patienten.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Frau Dittrich. Sie haben auch in heiterer Gelassenheit gestrahlt. Sehen Sie das genauso?

Frau Prof. Dr. Dittrich (GPP): Ja, das sehe ich genauso. Es ist klinisch – das hat Frau Hammermann angedeutet –, in dieser Patientengruppe extrem schwer, mit harten Endpunkten zu arbeiten. Diejenigen unter Ihnen, die kleine Kinder haben, wissen das. Das ist keine Population, bei der es einfach ist, harte Endpunkte zu erheben. Aber was wir wissen, und das wissen wir auch bei diesen kleinen Kindern, ist: Die Funktion des betroffenen Proteins verbessert sich mindestens genauso gut, wenn nicht sogar eher besser.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, wobei ich das nicht nur auf kleine Kinder einschränken möchte. Ich habe über dreißigjährige Kinder. Da fällt es mir langsam schwerer, harte Endpunkte zu finden. Aber das mag mit anderen Dingen zusammenhängen. Frau Hammermann, Sie sehen das genauso?

Frau Dr. Hammermann (GPP): Ich sehe das genauso. Es ist wirklich so, dieses „noch besser“, das die Eltern berichten, ist ein Unterschied zu vorher, als die Kinder die zwei Zweifachkombinationen bekommen haben. Wir sehen es auch im Schweißtest, bei dem die jungen Kinder – Frau Stahl hat es gesagt – noch besser ansprechen. Das heißt, sie sind im niedrig-normalen Bereich, sie sind besser als Sie und ich im Schweißtest.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Okay. Frau Schmitt-Grohe.

Frau PD Dr. Schmitt-Grohe (GPP): Es tut mir leid. Aber ich konnte kein Mikrofon installieren. Deshalb bin ich jetzt über das Telefon beigetreten.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Sie sehen es genauso? Oder haben Sie die Frage nicht gehört?

Frau PD Dr. Schmitt-Grohe (GPP): Es tut mir leid. Ich habe sie nicht gehört.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Frau Bickel hat gefragt: Im Anwendungsgebiet A Zweier- oder Dreierkombination? Die Vorrednerinnen haben gesagt, wenn die Eltern nicht irgendwelche Gründe dagegen vortragen, die einen gewissenhaften Behandler daran hindern, das Beste zu tun, setzen wir immer – ich fasse es in die juristischen Worte, weil ich nicht Medizin studiert habe – die Dreierkombination in der Patientengruppe, also im Anwendungsgebiet B ein. Das war die Aussage, die hier gemacht wurde.

Frau PD Dr. Schmitt-Grohe (GPP): Da sehe ich keinen großen Unterschied.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Okay, alles klar. Beim Anwendungsgebiet A sowieso. Das haben wir vorher abgearbeitet. – Frau Bickel, ist die Frage beantwortet?

Frau Bickel: Ja, vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Nachfrage? – Keine. Wer hat weitere Fragen? – Ich sehe keine mehr. Die Antworten waren klar. Es gibt keine Nachfragen mehr. Dann sind wir flotter durch, als ich es erwartet habe. Ich gebe Herrn Stemmer die Möglichkeit, aus seiner Sicht zusammenzufassen. Herr Stemmer, Sie haben das Wort.

Herr Dr. Stemmer (Vertex Pharmaceuticals): Sehr gerne. Vielen Dank. Es gibt wenig zusammenzufassen, außer, dass wir uns freuen, zu hören, dass die jungen Patienten auf die Dreifachkombination so gut ansprechen und davon profitieren. Ich möchte noch einmal in Erinnerung bringen, dass auch die EMA für alle Patienten einen Evidenztransfer vorgenommen hat. Das sehen wir weiterhin als gegeben an und entsprechend für alle Patienten auch einen Zusatznutzen. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ganz herzlichen Dank, Herr Stemmer, an Sie und Ihr Team. Herzlichen Dank an Frau Hammermann, Frau Schmitt-Grohe, Frau Dittrich und Frau Stahl, dass Sie klare Antworten gegeben haben, und an Frau Bickel und Frau Preukschat, die sich seitens der Bänke und des IQWiG geäußert haben. Wir werden das intensiv zu diskutieren haben. Damit beenden wir diese Anhörung. Ich bedanke mich bei denjenigen, die uns jetzt verlassen, und wünsche Ihnen noch einen schönen Tag. Bis zum nächsten Mal. Danke schön.

Schluss der Anhörung: 15:30 Uhr