



Mündliche Anhörung

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

hier: Acoramidis (D-1167)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 11. August 2025
von 12:00 Uhr bis 12:31 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

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

Herr Dr. Dr. Dintsios
Frau Dr. Thate-Waschke
Frau Dr. Prisner
Frau Dr. Plate

Angemeldete Teilnehmende der **Deutsche Gesellschaft für Kardiologie - Herz- und Kreislaufforschung e. V. (DGK)**:

Frau PD Dr. Morbach
Herr Prof. Dr. Knebel

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Novo Nordisk Pharma GmbH**:

Herr Schmidt
Herr Blüggel

Angemeldete Teilnehmende der Firma **AstraZeneca GmbH**:

Frau Dr. Riemann
Frau Dr. Nitsch

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Alnylam Germany GmbH**:

Frau Dr. Adams
Herr Dr. Bertrand

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

Herr Bussilliat

Beginn der Anhörung: 12:00 Uhr

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Es ist wieder Anhörungsmontag, und wir beschäftigen uns jetzt mit Acoramidis. Basis der heutigen Anhörung ist die Dossierbewertung des IQWiG vom 27. Juni dieses Jahres. Wir haben es mit dem Anwendungsgebiet ATTR-CM zu tun.

Stellung zu der Dossierbewertung des IQWiG haben zum einen genommen: der pharmazeutische Unternehmer Bayer Vital, als Fachgesellschaften die Deutsche Gesellschaft für Kardiologie – Herz- und Kreislaufforschung und die Deutsche Gesellschaft für Innere Medizin. Als weitere pharmazeutische Unternehmer haben Novo Nordisk Pharma GmbH, AstraZeneca GmbH und Alnylam Germany GmbH eine Stellungnahme abgegeben, des Weiteren der Verband Forschender Arzneimittelhersteller.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir heute wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Bayer Vital müssten anwesend sein Herr Dr. Dr. Dintsios, Frau Dr. Thate-Waschke, Frau Dr. Prisner und Frau Dr. Plate, für die Deutsche Gesellschaft für Kardiologie – Herz- und Kreislaufforschung Frau PD Dr. Morbach und Herr Professor Dr. Knebel, für Novo Nordisk Pharma Herr Schmidt und Herr Blüggel, für AstraZeneca Frau Dr. Riemann und Frau Dr. Nitsche, für Alnylam Germany Frau Dr. Adams – Fragezeichen – und Herr Dr. Bertrand 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 Bayer Vital die Möglichkeit, einzuführen. Wer macht das?

Frau Dr. Plate (Bayer Vital): Das mache ich gerne.

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

Frau Dr. Plate (Bayer Vital): Vielen Dank. – Sehr geehrte Damen und Herren! Sehr geehrter Herr Professor Hecken! Wir freuen uns, heute mit Ihnen über unser Produkt Acoramidis zu sprechen. Bevor wir in die Details gehen, möchte ich gerne unserem Team von Bayer kurz die Möglichkeit geben, sich vorzustellen, sofern das für Sie, Herr Vorsitzender, in Ordnung ist.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, kein Problem.

Frau Dr. Prisner (Bayer Vital): Ich mache den Anfang. Guten Tag, mein Name ist Lisa Prisner, und ich habe die Erstellung des Dossiers mitverantwortet. Damit gebe ich an meine Kollegin Frau Thate-Waschke ab.

Frau Dr. Thate-Waschke (Bayer Vital): Guten Tag! Mein Name ist Inga Thate-Waschke, auch von Bayer Vital, Bereich Medizin. Ich bin verantwortlich für die medizinische Unterstützung des Nutzendossiers und gebe nun das Wort an meinen Kollegen, Herrn Dintsios, weiter.

Herr Dr. Dr. Dintsios (Bayer Vital): Markos Dintsios, ich leite ... (akustisch unverständlich) Operation bei Market Access in der Bayer Vital und bin für alles, was mit dem G-BA zu tun hat, verantwortlich, also auch die Dossiers. Ich gebe zurück an Frau Plate für das Eingangsstatement.

Frau Dr. Plate (Bayer Vital): Mein Name ist Henrike Charlotte Plate. Ich komme ebenfalls aus dem Market Access Bereich von Bayer und habe die Dossiererstellung von Acoramidis mitverantwortet. Heute möchte ich Sie einladen, mit mir gemeinsam ein gedankliches Experiment durchzuführen.

Stellen Sie sich vor, Sie sitzen im Wartebereich einer Arztpraxis. Sie sind angespannt, erschöpft, die Minuten scheinen unendlich zu vergehen. Dabei ist es noch nicht lange her, dass

Sie im Krankenhaus waren, voller Angst, nicht zu überleben, die Schmerzen in Ihrer Brust immer noch präsent. Sie sind ständig müde, Sie bekommen kaum Luft und Ihre Beine sind schwer. Dadurch wird das Spiel mit Ihrem Enkel zur Herausforderung. Obwohl Sie sich von Arzt zu Arzt geschleppt haben, haben Sie keine Antwort auf Ihre quälenden Symptome bekommen. Als der Arzt Sie nun ins Zimmer ruft und Ihnen sagt, dass Sie eine Transthyretin-Amyloidose mit Kardiomyopathie haben, eine schwerwiegende, lebensbedrohliche Erkrankung, finden Sie paradoxerweise fast Erleichterung – endlich eine Diagnose. Aber gleichzeitig überkommt Sie die Sorge. Was bedeutet das für die Zukunft? Welche Behandlungsoptionen können Ihnen die Ärzte nun bieten?

Aber beginnen wir am Anfang: Was ist eine Transthyretin-Amyloidose mit Kardiomyopathie, oder kurz Amyloidose? Sie haben einen Transporter in Ihrem Körper, der als Transthyretin-Molekül bezeichnet wird und dafür verantwortlich ist, verschiedene Stoffe in Ihrem Blut zu transportieren. Bei Ihnen funktioniert dieser Transporter nicht mehr richtig und zerfällt in seine Einzelteile. Diese Einzelteile lagern sich anschließend falsch zu größeren Ablagerungen zusammen, die als Amyloid bezeichnet werden. Daher kommt auch der Name der Erkrankung.

Grundsätzlich können sich diese Ablagerungen überall in Ihrem Körper bilden, aber im Herzen sind sie besonders schlimm. Lagern sich also diese fehlgefalteten, defekten Transportproteine in Ihr Herz ein, kann Ihr Herz nicht mehr richtig arbeiten. Es wird steif. Es kann nicht mehr effektiv Blut pumpen, und das führt dazu, dass Sie ständig müde sind und an vielen Dingen im Leben keine Freude mehr haben.

Was kann Ihnen helfen? Was ist das Besondere an Acoramidis? Acoramidis ist ein hochselektiver Transthyretin-Stabilisator, der an jegliche Formen von Transthyretin bindet und das Transthyretin-Molekül stabilisiert. Oder anders gesagt: Acoramidis greift in das zentrale Element der Krankheitsentstehung ein und sorgt dafür, dass Ihr Transporter stabil bleibt. Dafür schiebt es sich wie ein effektiver Klebstoff zwischen die Einzelteile und hält sie zusammen.

Im Gegensatz zu anderen Wirkstoffen ahmt Acoramidis dazu bei einigen Menschen eine schützende und natürlich vorkommende Veränderung des Transportproteins nach, die dazu führt, dass das Transthyretin-Molekül grundsätzlich stabiler ist und als T119M-Mutation bezeichnet wird. Grundsätzlich ist diese Mutation wie ein zusätzlicher Halt, der Ihren Transporter stabiler macht. Über diesen spezifischen Wirkmechanismus, für den Acoramidis explizit entwickelt wurde, ist Acoramidis der einzige Wirkstoff, der zu einer nahezu vollständigen Stabilisierung Ihres Transporters führt und den natürlichen Transthyretin-Spiegel in Ihrem Körper wieder herstellt.

Was bedeutet das nun für Sie als Betroffener? Acoramidis schützt Ihr Herz. Daraus ergeben sich relevante Vorteile, und drei dieser Vorteile möchte ich heute hervorheben: Erstens. Acoramidis verlängert Ihr Leben. In der ATTRIBUTE-CM-Studie hat Acoramidis statistisch signifikant die Gesamtmortalität und die kardiovaskulär bedingte Mortalität reduziert und damit zu einer bedeutsamen Verlängerung des Lebens geführt.

Zweitens. Acoramidis verhindert Krankenhausaufenthalte. Acoramidis reduziert statistisch signifikant das Risiko, hospitalisiert zu werden. Diese Vorteile zeigen sich in der Hospitalisierung aufgrund jeglicher Ursache, aber auch in den kardiovaskulär bedingten bzw. den Herzinsuffizienz-bedingten Hospitalisierungen. Eine akute Krankenhauseinweisung ist für Patienten immer mit großer Angst verbunden, und selbst nach einer angemessenen Therapie können bleibende körperliche oder psychische Schäden bestehen bleiben.

Drittens. Acoramidis macht das Leben wieder lebenswert. Acoramidis erhält nicht nur, sondern verbessert den Gesundheitszustand und die Belastbarkeit von Amyloidose-Patienten, belegt durch statistisch signifikante Vorteile im EQ-5D VAS und im 6-Minuten-Gehtest. Das führt zu einer statistisch signifikant verbesserten Lebensqualität.

Die Verlängerung des Lebens und die Abschwächung schwerwiegender Komplikationen gehen dabei unter der Therapie von Acoramidis mit einer sehr guten Verträglichkeit einher. Das heißt, aus Sicht von Bayer belegt die Zulassungsstudie von Acoramidis einen beträchtlichen medizinischen Nutzen im Vergleich zu einer patientenindividuell optimierten Hintergrundtherapie für das gesamte Patientenkollektiv in dieser Indikation, da keine Hinweise auf eine fazitrelevante Effektmodifikation in den Subgruppen, wie zum Beispiel die NYHA-Klassifizierung, zu finden ist. Für die Bewertung hier vor dem G-BA wäre ein direkter Vergleich zu Tafamidis erforderlich gewesen, da Tafamidis als geeignete zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt wurde.

Was macht man nun also, wenn diese direktvergleichende Evidenz nicht vorliegt? Es wird geprüft, ob ein indirekter Vergleich bzw. ein valider indirekter Vergleich möglich ist. In diesem Fall wäre ein indirekter Vergleich methodisch nicht korrekt. Aus Sicht von Bayer schwächt dies allerdings nicht die medizinische Relevanz von Acoramidis, die wir heute gerne noch einmal mit Ihnen besprechen wollen.

Zusammenfassend halten wir fest: Acoramidis zeigt für dieses hochvulnerable und multimorbide Patientenkollektiv in der Indikation der Transthyretin-Amyloidose mit Kardiomyopathie im Vergleich zu einer patientenindividuell optimierten Hintergrundtherapie statistisch signifikante Vorteile in allen Dimensionen: Mortalität, Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität und Verträglichkeit. – Vielen Dank für Ihre Aufmerksamkeit.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Dr. Plate, für diese Einführung. – Sie haben zu Recht gesagt, dass Sie in Übereinstimmung mit dem IQWiG keine für das AMNOG-Verfahren geeigneten Daten als vorliegend gegeben ansehen. Die spannende Frage an die Kliniker ist gleichwohl: Wie sehen Sie den therapeutischen Stellenwert von Acoramidis, gegebenenfalls im Vergleich zu Tafamidis, das wir als zVT bestimmt hatten, in der vorliegenden Indikation? Vielleicht können Sie uns, Frau Dr. Morbach oder Herr Professor Knebel, aus klinischer Sicht ein wenig weiterhelfen und berichten, wie Sie das in der Praxis sehen. Wer möchte von Ihnen beginnen? – Frau Morbach, bitte.

Frau PD Dr. Morbach (DGK): Kurz zu meiner Person: Ich bin Kardiologin an der Uniklinik in Würzburg, bin in der Kardiologie und am Interdisziplinären Zentrum für Amyloidose und seit sieben Jahren im Bereich der Amyloidose und der Herzinsuffizienz tätig.

In der Stellungnahme der DGK – ich denke, die haben Sie vorlegen – schließt sich die DGK der Einschätzung des IQWiG an, dass im Rahmen der ATTRIBUTE-Studie klinisch relevante, statistisch signifikante Effekte in den Endpunktkategorien Mortalität, Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität und Sicherheit erreicht werden konnten. Insofern sehen wir durchaus einen Stellenwert für diese Therapie. Auch würden wir uns dem anschließen, dass man es nicht direkt mit Tafamidis vergleichen kann, was bisher unsere einzige oder zugelassene Therapie auf dem Gebiet war.

Wir sehen Vorteile, die das Acoramidis gegenüber dem Tafamidis haben könnte, zum einen darin, dass es auch für eine deutlich eingeschränkte Nierenfunktion zugelassen ist. Das Tafamidis darf nicht bei eGFR unter 25 verwendet werden. Hier haben wir für das Acoramidis keine Einschränkung, sodass wir dankbar sind, für diese Patientenklientel eine Therapie zur Verfügung zu haben.

Ein weiterer Punkt, der in unserer Stellungnahme zum Ausdruck kam, ist, dass man aus Daten aus der ATTRIBUTE-Studie zeigen konnte, dass man bereits nach wenigen Wochen den Effekt sehen kann, dass die Therapie anschlägt und man die Patienten weiter therapieren kann. Des Weiteren haben wir zwar eine zweimal tägliche Gabe, aber die Tabletten sind kleiner. Das heißt, Patienten mit Schluckbeschwerden, die die große Tafamidis-Tablette nicht gut schlucken können, haben hier den Vorteil, dass sie kleinere Tabletten zur Verfügung haben und diese einnehmen können.

Tafamidis ist eine etablierte, gut verträgliche Therapie, aber es gibt Patienten, die es nicht vertragen, die allergisch reagieren, die mit starken Unverträglichkeiten reagieren, und für die hat man jetzt eine weitere Therapieoption. Insofern sehen wir einen großen, guten Stellenwert für einen zweiten Transthyretin-Stabilisator.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Dr. Morbach. – Herr Professor Knebel, bitte.

Herr Prof. Dr. Knebel (DGK): Im Wesentlichen schließe ich mich allen Äußerungen von Frau Morbach zu 100 Prozent an. Es gibt vielleicht noch andere Perspektiven. Erst einmal kurz zu meiner Person: Ich bin Chefarzt der Kardiologie am Sana Klinikum in Berlin Lichtenberg und war sehr lange an der Charité tätig, habe dort das Amyloidose-Zentrum vor mittlerweile sechs Jahren mit aufgebaut und bin in diesem Thema mit Kardiomyopathien und Amyloidose stark involviert.

Ich glaube, ein wichtiger Aspekt ist noch, dass wir in Deutschland seit der Einführung von Tafamidis eine starke Zunahme von Patienten mit kardialer Amyloidose haben, weil die Awareness, wie man so sagt, für diese Erkrankung deutlich gestiegen ist und damit auch der Bedarf an Therapien gestiegen ist. Wir sehen zunehmend viele ältere Patienten, die diese Erkrankung haben.

Das sieht man auch an der Auswahl der Patienten, die in der ATTRibute-Studie untersucht worden sind. Das sind etwas vom NT-proBNP-Wert vielleicht weniger stark erkrankte, aber teilweise ältere Patienten, die dort untersucht worden sind und wir jetzt sehr gute Daten in einer größeren Patientenzahl als in der ATTRACT-Studie haben, was die Statistik insgesamt untermauert. Ich glaube, aus kardiologischer Sicht gibt es den Bedarf, dass wir Therapieoptionen für diese Patienten haben.

Ganz schwierig ist es im klinischen Alltag, diese Therapie zu monitoren, weil wir einen Krankheitsprozess stabilisieren, ihn aufhalten. Das ist keine Therapie, bei der der Patient nach wenigen Wochen sagt, oh, mir geht es richtig gut. Ihm wird es nur nicht schlechter gehen. Das zu fassen geht nur in den Tools, die vorhin einführend von Frau Plate geschildert worden sind. Die Lebensqualitätsscores, der Nichtverlust an Lebensqualität, die Nichthospitalisierung, das Nichtversterben sind die Therapieerfolge. Ich glaube, Acoramidis ist eine Substanz, die nach den Studien sehr potent ist. Wir haben es in unseren Zentren alle selber noch nicht lange probieren können, weil die Zulassung erst kurz her ist. Wir müssen uns auf die Studiendaten verlassen. Das ist methodisch schwierig.

In der ATTRibute-Studie konnten wir erst nach zwölf Monaten sehen, dass einige Patienten auch Tafamidis hatten. Das heißt, wir haben einige Patienten in der Studie, die beides hatten, aber aus den genannten Gründen, die Frau Plate dargelegt hat, reicht das nicht, um signifikante oder vor allem statistische Analysen daraus zu ziehen, ob das eine besser ist als das andere. Das ist dem Umstand geschuldet, dass diese ATTRibute-Studie gemacht wurde, als das Tafamidis schon auf den Markt gekommen ist. Aber wir sind in der DGK, in der kardiologischen Szene davon überzeugt, dass wir es hier mit einem sehr wirksamen und sehr potenten Tetramerstabilisator zu tun haben.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Herr Professor Knebel. – Ich schaue in die Runde der Bänke, Patientenvertretung und des IQWiG. Wer hat Fragen? – Frau Preukschat vom IQWiG, bitte.

Frau Preukschat: Es wurde schon vieles gesagt. Ich denke, das Urteil zum Zusatznutzen ist eindeutig. Wir können leider keine Aussage treffen, ob Acoramidis einen Zusatznutzen gegenüber Tafamidis hat. Genauso ist die Therapieentscheidung in der Praxis beim einzelnen Patienten derzeit schwierig, weil keine guten Daten dafür vorliegen: Sollen Patienten, die derzeit Tafamidis bekommen, auf Acoramidis wechseln? Was mache ich, wenn ich neu diagnostiziert werde? Das ist aus meiner Sicht das eigentliche Dilemma, das der Patient in der Arztpraxis erlebt.

Meine Frage wäre sowohl an die Kliniker als auch an den Hersteller, was in Zukunft angedacht ist. Es kommen einige weitere Therapien, und ich sehe mit Erschrecken, dass die sich teils immer noch nur mit BSC, Placebo vergleichen. Welche Strategien verfolgen Sie, um in Zukunft Daten zu generieren und die Patienten bei dieser schwierigen Therapieentscheidung zu unterstützen? Gibt es Register? Gibt es Ansätze für notfalls Propensity-Score adjustierte Vergleiche, um in dieser doch schwerwiegenden Erkrankung Daten zum Vergleich zwischen den derzeitigen, aber auch dann neuen Therapien zu generieren, die den Patienten und Ärzten bei der Therapieentscheidung helfen?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Preukschat. – Beginnen wir mit dem pU. Haben Sie noch irgendwelche Planungen? Oder an die beiden Praktiker: Gibt es irgendwelche Überlegungen Richtung Register? – Frau Dr. Thate-Waschke, bitte.

Frau Dr. Thate-Waschke (Bayer Vital): Wir haben die eine oder andere Studie, auch international, in Planung. Zum Beispiel kann ich hier in der Planungsphase im Moment die ACO-REAL-Studie aufführen. Das ist eine internationale einarmige Studie, in der Patienten eingeschlossen werden, die entweder treatmentnaiv oder nach einer bestehenden Therapie auf Acoramidis eingestellt werden. Ziel der Studie ist es, die Patienten über ein Jahr hinweg zu charakterisieren, sich die Therapieverläufe anzusehen, echokardiografische und EKG-Parameter über diesen Zeitraum zu erfassen, selbstverständlich diverse Biomarker, Serum-TTR-Spiegel, NT-proBNP, Quality of Life, Six-Minute-Walking-Distance-Test, also letztendlich das ganze Setting, um sich anzusehen, wie sich diese Patienten innerhalb eines Jahres entwickeln. Safety und Ressourcenverbräuche sind selbstverständlich auch in der Studie integriert. Ich weiß, dass es noch eine ganze Reihe weiterer Initiativen gibt, die eher aufseiten der Kliniker zu finden sind. Wie gesagt, das ist ein Teil unseres Studienprogramms, das wir in der näheren Zukunft angehen werden.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Herr Knebel, Frau Morbach, haben Sie Erkenntnisse, ob es irgendetwas im Bereich der Anwendungen registermäßig oder sonst wie gibt? – Frau Morbach, bitte.

Frau PD Dr. Morbach (DGK): Das Besondere bei der Erkrankung Amyloidose ist, dass es nicht so leicht zu diagnostizieren ist, die Differenzialdiagnostik und auch Therapiesteuerung, sodass die allermeisten Patienten an großen Amyloidose-Zentren betreut sind. Wir Zentren kennen uns hier in Deutschland untereinander gut und sind auch untereinander vernetzt. Ganz konkret gibt es im Moment die Planung eines deutschlandweiten Registers zu Patienten mit Transthyretin-Amyloidose, in dem wir die Therapien erfassen und den Therapieerfolg im Verlauf untersuchen werden. Es gibt konkrete Planungen, dass wir miteinander unsere Daten austauschen. Die Zentren für sich haben in der Regel schon eigene lokale Register, sodass man die Daten aus den letzten Jahren hat. Fabian, Ihr habt das auch.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Herr Knebel, bitte.

Herr Prof. Dr. Knebel (DGK): Es ist so, dass es eine kürzlich publizierte Studie, eine Open-Label-Extension-Studie aus dieser genannten Studie ATTRibute-CM zum Acoramidis gibt. Im Langzeiteffekt wurde gesehen, dass sich der Effekt über die 48 Monate, die, glaube, ich untersucht worden sind, noch deutlicher zeigt, die Kurven divergieren immer weiter.

Ähnliche Daten kennen wir vom Tafamidis. Da gibt es eine Extension-Studie die Langzeitdaten publiziert hat. Es ist das Wesen dieser langsamen Effekte, dass die Kurven über die Zeit auseinander gehen. Es gibt zum Tafamidis das große THAOS-Register, das das untersucht hat. Es wäre sehr wünschenswert, dass wir Register haben. Das war der leichte Teil der Antwort. Wie sind die Langzeiterfahrungen?

Die schwierige Frage, Frau Preukschat, die Sie vorgebracht haben: Wie entscheiden wir uns in den Zentren? Welchen Patienten geben wir welches Medikament? Diese Frage bleibt letztendlich den Zentren und den Einzelnen vorbehalten, weil es in Ermangelung kontrollierter Daten zu diesem Thema nicht anders geht, als irgendwie intern einen Weg zu finden. Mich

erinnert die Diskussion an die, die wir mit der oralen Antikorrelation hatten. Wer bekommt das Präparat A und B? Das eine ist vielleicht einmal am Tag, das andere zweimal am Tag. Im Grunde muss man auf die Daten schauen, aber einen unmittelbaren Head-to-Head-Vergleich gibt es nicht. Ich denke, das wird in den Zentren irgendwie bleiben, und man wird einen pragmatischen Weg finden müssen, dass man die verschiedenen existierenden Substanzen einsetzt, um Erfahrung zu sammeln und die Patienten optimal zu betreuen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Herr Professor Knebel. – Herr Grenz von der KBV, bitte.

Herr Dr. Grenz: Sie haben ausgeführt, dass ein Head-to-Head-Vergleich Acoramidis zu Tafamidis wegen der späten EU-Zulassung nicht möglich gewesen sei. Ich wollte noch einmal auf die Frage von Frau Preukschat eingehen. Wenn man schaut, von den 104 Studienzentren waren nur 40 in den USA und 36 in Europa. Die Tafamidis-Zulassung war im Mai 2019 in der FDA. Das waren nicht zehn Monate, sondern im Prinzip nur zwei oder drei Monate. Hätte man nicht möglicherweise dennoch in der Studie einen Direktvergleich nach zwei Monaten nachschieben können?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Ich habe zunächst Frau Thate-Waschke und Herrn Dintsios vom pU. Frau Thate-Waschke, bitte.

Frau Dr. Thate-Waschke (Bayer Vital): Die Studienplanung und der Studienstart, wie schon erwähnt, erfolgten zu einem Zeitpunkt, als Tafamidis noch nicht zugelassen, jedoch abzusehen war, dass eine entsprechende Zulassung sowohl von der FDA als auch von der EMA zu erwarten war. Allerdings erfolgte die Zulassung der EMA doch um einiges später als die Zulassung der FDA. Ein weiteres Aufschieben in dieser Situation der Studien lag damals nicht in unserer Hand. Bei einem solchen Vorgang hat sich das damalige Team entschieden, nicht weiter zu warten, um hier einen entsprechenden Komparator-Arm einzuführen.

Was allerdings gemacht wurde, um den Patienten eine optimierte Hintergrundtherapie zu ermöglichen, war, dass ein entsprechendes Amendment aufgenommen wurde, das den Studienärzten ermöglicht hat, auf individueller Entscheidung den Patienten Tafamidis zugänglich zu machen, wenn die Patienten mindestens zwölf Monate an der Studie teilgenommen hatten. Um das Ganze methodisch sauber zu machen, sind Verblindung und Randomisierung erhalten geblieben und daher in beiden Studienarmen Tafamidis erlaubt worden.

Zusätzlich möchte ich erwähnen, dass sich mehr als 55 Prozent der Patienten aus europäischen Zentren rekrutiert haben. Das heißt, dass das mit der entsprechenden Verzögerung durch die EMA deutlich mehr als 50 Prozent der Patienten betroffen hat.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Thate-Waschke. – Herr Dintsios, bitte.

Herr Dr. Dr. Dintsios (Bayer Vital): Ich möchte nicht viel ergänzen, nur die Tatsache, die gerade mit den europäischen Zentren geschildert wurde. Das hat zwangsläufig dazu geführt, dass mehr Patienten eingeschlossen wurden, bevor Tafamidis überhaupt zugelassen wurde.

Ich möchte auch den ethischen Aspekt nicht vollkommen außen vor lassen. Man kann Protokoll-Amendments machen, aber eine Studie noch einmal umzudefinieren, wenn die Patienten eingeschlossen und randomisiert wurden, einen neuen Komparator zu nennen, während Teile der Patienten schon laufen, ist eine große Herausforderung und bei den Zulassungsbehörden nicht unbedingt gern gesehen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Dintsios. – Herr Grenz, haben Sie weitere Fragen?

Herr Dr. Grenz: Nein, vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Ich schaue in die Runde. Gibt es weitere Fragen? – Ich sehe keine. Es gibt auch relativ wenig. Ich gebe dem pU die Möglichkeit, sofern

gewünscht, zum Schluss eine kurze Zusammenfassung zu geben. Machen Sie das wieder, Frau Dr. Plate?

Frau Dr. Plate (Bayer Vital): Das mache ich wieder.

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

Frau Dr. Plate (Bayer Vital): Vielen Dank. – Sehr geehrter Professor Hecken! Sehr geehrte Damen und Herren! Danke, dass Sie sich die Zeit genommen haben, heute kurz über Acoramidis zu sprechen. Ich denke, der zentrale Punkt war sicherlich die methodische Umsetzbarkeit eines direkten Vergleichs zwischen Acoramidis und Tafamidis. Nach Auffassung von Bayer hat sich in dieser kurzen Diskussion trotzdem der medizinische Wert nicht zuletzt durch die Sicht der Kliniker noch einmal bestätigt. Vor dem Hintergrund der guten Ergebnisse hinsichtlich der Verträglichkeit und Wirksamkeit stellt Acoramidis aus Sicht von Bayer eine essenzielle Therapiesäule dar, was sich unter anderem auch darin widerspiegelt, dass Acoramidis so kurz nach Zulassung bereits in die internationalen Leitlinien-Empfehlungen aufgenommen wurde. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Plate, an Sie und Ihr Team. Herzlichen Dank auch an Frau Morbach und Herrn Knebel. Wir haben das noch einmal zur Kenntnis genommen, was uns die Kliniker gesagt haben. Wie eben gesagt wurde, ist die Zusatzsatzbewertung klar, aber gleichwohl ist das von großem Interesse, was wir gehört haben. Ich bedanke mich bei Ihnen und wünsche Ihnen einen schönen Resttag.

Schluss der Anhörung: 12:31 Uhr