



Mündliche Anhörung

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

hier: Concizumab (D-1237 + D-1238)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 9. Februar 2026
von 14:48 Uhr bis 15:13 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

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

Frau Wagenschieber

Frau Kiesel

Frau Dr. Knerr-Rupp

Herr Dr. Dr. Bassus

Angemeldeter Teilnehmender der **Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO)**:

Herr Prof. Dr. Wörmann

Angemeldete Teilnehmende der **Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH)**:

Herr Prof. Dr. Eichler

Herr PD Dr. Klamroth

Angemeldete Teilnehmende der **Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)**:

Herr Prof. Dr. Rascher

Herr PD Dr. Held

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Pfizer Pharma GmbH**:

Herr Dr. Bardinet

Frau Dr. Lade

Angemeldete Teilnehmende der Firma **CSL Behring GmbH**:

Herr PD Dr. Gromer

Herr Jülich

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 14:48 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 zwei Dossiers, die zusammengefasst sind, Concizumab, zum einen Dossier 1237 und zum anderen Dossier 1238, einmal Hämophilie A mit angeborenem Faktor-VIII-Mangel ohne Hemmkörper und Hämophilie B angeborener Faktor-IX-Mangel ohne Hemmkörper.

Beide Verfahren haben einer Dossierbewertung durch das IQWiG unterlegen. Basis der heutigen Anhörung ist die Dossierbewertung vom 29. Dezember des vergangenen Jahres, zu der Stellung genommen haben: zum einen der pharmazeutischer Unternehmer Novo Nordisk, als Fachgesellschaften zum einen die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft, die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostasieforschung und die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie, als weitere pharmazeutische Unternehmer CSL Behring und Pfizer Pharma sowie als Verband der Verband Forschender Arzneimittelhersteller.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir heute wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Novo Nordisk Pharma müssten anwesend sein Frau Wagenschieber, Frau Kiesel, Frau Dr. Knerr-Rupp und Herr Dr. Dr. Bassus, für die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie Herr Professor Dr. Wörmann, für die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostasieforschung Herr Professor Dr. Eichler und Herr PD Dr. Klamroth, für die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft Herr Professor Dr. Rascher und Herr PD Dr. Held, für Pfizer Pharma Herr Dr. Bardinnet und Frau Dr. Lade, für CSL Behring Herr PD Dr. Gromer und Herr Jülich sowie für den vfa Herr Herden. Ist noch jemand in der Leitung, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich gebe zunächst dem pU die Möglichkeit, einzuführen. Danach treten wir in die Frage-und-Antwort-Runde ein. Wer macht das für den pU? – Frau Dr. Knerr-Rupp, Sie haben das Wort. Bitte schön.

Frau Dr. Knerr-Rupp (Novo Nordisk): Vielen Dank. Sehr geehrter Herr Professor Hecken! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank für die einleitenden Worte und die Möglichkeit, Stellung zu nehmen. Bevor wir inhaltlich starten, möchte ich gerne die Chance nutzen und das Team von Novo Nordisk vorstellen, das heute für die Anhörung hier vertreten ist: Das sind Frau Eva Wagenschieber aus dem Bereich Market Access bei Novo Nordisk, Herr Dr. Dr. Steffen Bassus aus dem Bereich Medical Affairs Novo Nordisk und Frau Lisa Kiesel, die als externe Beraterin die Dossiererstellung unterstützt hat. Mein Name ist Dr. Katrin Knerr-Rupp. Ich arbeite ebenfalls im Market Access Bereich bei Novo Nordisk und war verantwortlich für das Dossier.

Worum geht es heute? Kurz nach der Erstzulassung von Concizumab im Dezember 2024 wurde das Anwendungsgebiet bereits im August 2025 erweitert. Initial war Concizumab ausschließlich zur Routineprophylaxe bei Patienten ab zwölf Jahren mit Hämophilie A oder B jeweils mit Hemmkörpern zugelassen. Mit der Indikationserweiterung umfasst das Anwendungsgebiet nun auch Patienten ab zwölf Jahren mit schwerer Hämophilie A sowie mit mittelschwerer oder schwerer Hämophilie B, jeweils ohne Hemmkörper. Genau um diese Patienten geht es heute.

Die Erweiterung des Anwendungsgebietes basiert ebenso wie die Erstzulassung auf dem Explorer-Studienprogramm. Das umfasst insgesamt neun klinische Studien und hat damit über 400 Patienten eingeschlossen. Eine der klinischen Studien ist die für das neue Anwendungsgebiet zulassungsbegründende und teilrandomisierte Studie Explorer8. Für

Concizumab haben wir im Dossier einen Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen für beide Teilpopulationen beansprucht. Abgeleitet haben wir das aus den vorteilhaften und innovativen Produkteigenschaften des Wirkstoffs selbst.

Lassen Sie uns gerne gemeinsam auf die drei entscheidenden Vorteile von Concizumab blicken. Der erste Vorteil ist, dass Concizumab eine einfache und alltagstaugliche Anwendung ermöglicht. Die tägliche Gabe erfolgt subkutan, einfach und schnell mit dem vorgefüllten Multidose-Pen. Es ist kein belastender intravenöser Zugang wie bei den Faktorpräparaten nötig, keine aufwendige Vorbereitung, wie bei Emicizumab. Der Pen ist nach dem Öffnen vier Wochen bei Raumtemperatur lagerfähig und damit jederzeit verfügbar, egal ob zu Hause, unterwegs oder auf Reisen. Das ist echte Alltagstauglichkeit für den Patienten und kann die Therapietreue erhöhen.

Der zweite Vorteil wäre, dass Concizumab ohne routinemäßige Überwachung einen hohen und zuverlässigen Blutungsschutz gewährleistet. Concizumab schützt wirksam vor Blutungen ohne die Entwicklung von Hemmkörpern gegen Gerinnungsfaktoren. Das heißt, auch der Hemmkörperstatus gegen die Gerinnungsfaktoren muss nicht kontrolliert werden. Es bedarf hier keiner routinemäßigen Überwachung der Gerinnungsaktivität des Patienten, und das heißt, weniger Kontrolle, weniger Aufwand und weniger Belastung für den Patienten – ein Schritt, der die Behandlung im Vergleich zur bisherigen Therapieoption deutlich vereinfacht. Das ist ein Beitrag, der die Krankheitsbürde spürbar reduziert und die Lebensqualität nachhaltig verbessern kann.

Der dritte Vorteil von Concizumab ist, dass es unabhängig vom Hämophilie-Typ und vom Hemmkörperstatus wirkt. Das heißt, Concizumab ersetzt keine fehlenden Gerinnungsfaktoren. Es setzt an einer anderen Stelle an und blockiert den Tissue Factor Pathway. Das bedeutet, Concizumab kann sowohl unabhängig vom Typ der Hämophilie als auch vom Hemmkörperstatus zur Blutungsprophylaxe, eingesetzt werden. Das ist ein innovatives Wirkprinzip, das bisherige Barrieren überwindet, neue Behandlungsoptionen eröffnet und in der Hämophilie-Therapie bisher einmalig ist.

Außerdem möchte ich betonen, dass für Patienten mit mittelschwerer Hämophilie B mit einer Faktor-Restaktivität von unter 2 Prozent Concizumab die erste subkutane Therapiemöglichkeit darstellt. Für diese Patientengruppe war bisher ausschließlich eine Routineprophylaxe mit Faktorpräparaten zugelassen.

Abschließend lässt sich sagen, dass Concizumab mit seinem Gerinnungsfaktor VIII und IX, der hemmkörperunabhängigen Wirkweise, dem hohen Blutungsschutz in Kombination mit dem guten Sicherheitsprofil und der einfachen subkutanen Anwendung durch den Multidose-Pen, eine Lösung bietet, die die medizinische Wirksamkeit mit praktischer Entlastung verbindet. Das ist ein Fortschritt, der nicht nur medizinisch relevant ist, sondern das Leben der Betroffenen nachhaltig erleichtert. – Vielen herzlichen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Dr. Knerr-Rupp, für diese Einführung. – Ich schaue in die Runde. Wer hat Fragen? – Frau Teupen, bitte.

Frau Teupen: Ich habe eine Frage. Sie haben keine Daten im Dossier ausgewiesen, da die zVT nicht umgesetzt ist. Können Sie etwas zu den Ergebnissen in der Studie bezogen auf die Lebensqualität sagen? Sie sagten, das ist ein riesiger Vorteil für die Patienten. Können Sie etwas dazu sagen, was da herausgekommen ist?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Wer kann dazu etwas sagen? – Frau Wagenschieber, bitte.

Frau Wagenschieber (Novo Nordisk): Dazu möchte ich gern etwas sagen: Es ist so, dass Concizumab laut dem EPAR durch die subkutane Darreichungsform besonders für Patienten einen Vorteil bietet, die Probleme mit den venösen Zugängen haben, und für Patienten, die in ihrer Mobilität sehr eingeschränkt sind. Die haben durch Concizumab einen einfachen Zugang zu einer suffizienten Blutungsprophylaxe.

Ich möchte hinzufügen, dass wir es in der Hämophilie mit Patienten zu tun haben, die teilweise ihr Leben lang an eine venöse Therapie gewöhnt sind und teilweise jahrzehntelang Probleme mit ihren Gelenken haben und in ihrer Mobilität eingeschränkt sind. Es ist so, dass wir trotz dieser verringerten Blutungsrate nicht innerhalb von 24 Wochen sofort Veränderungen in der Lebensqualität sehen können. Das heißt, diese Lebensqualität und die Verbesserung in der Lebensqualität lassen sich erst nach einem längeren Zeitraum adäquat bemessen und Ergebnisse zeigen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Wagenschieber. – Frau Teupen, ist die Frage beantwortet?

Frau Teupen: Ja, vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke. – Jetzt habe ich Frau Bickel von der KBV und Frau Groß vom GKV-SV. Frau Bickel, bitte.

Frau Bickel: Ich habe eine Frage an die Kliniker bezüglich des Stellenwerts der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, insbesondere in Bezug auf die aus humanem Plasma gewonnenen Präparate und in Bezug auf Marstacimab. Vielleicht könnten Sie dazu Stellung beziehen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Bickel. – Ich habe als erstes Herrn Professor Wörmann. Bitte schön.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ich fange kurz an, aber in Anklang an das, was Frau Teupen gefragt hat: Aus deutscher Versorgungssicht finde ich es bedauerlich, dass hier gegen keine Prophylaxe randomisiert wurde, in dem einen Arm, der randomisiert wurde. Das ist nicht exakt das, was in Deutschland stattfindet, und reflektiert nicht komplett das, was mit Hilfe von Patient-Reported Outcome und Lebensqualität hätte erhoben werden können. Ich weiß, dass das in der Gerinnung nicht üblich ist. Deshalb sind Sie nicht die Ersten, die es anfragen. Hier merkt man trotzdem sehr deutlich, dass das für uns ein artifizielles Umfeld ist. Wir haben, glaube ich, in der Stellungnahme deutlich gemacht, dass wir auch nicht der Überzeugung sind, dass der Vergleichsarm das Richtige ist, sondern dass halbwertzeitverlängerte Präparate heute der Standard sind. Damit spiele ich elegant zu den beiden, die das jeden Tag machen, zurück, zu Herrn Klamroth und Herrn Eichler.

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

Herr PD Dr. Klamroth (GTH): Ich kann anfangen. Die zweckmäßige Vergleichstherapie ändert sich über die Jahre immer relativ schnell. Wir haben in der Hämophilie viele neue zugelassene Produkte. Wenn man heute sagen würde, dass in der Hämophilie A viele Patienten schon subkutan mit Emicizumab behandelt werden, dem bispezifischen Antikörper, und ein großer Teil mit dem halbwertzeitverlängerten Faktor-VIII-Konzentrat, wobei seit anderthalb Jahren ein halbwertzeitverlängertes Faktor-VIII-Konzentrat zugelassen ist, das man nur einmal pro Woche intravenös spritzt und das exzellente Blutungsraten hat. Das heißt in der Hämophilie-A-Therapie hat sich die Behandlung durch diese neuen zugelassenen Präparate erheblich verbessert.

Bei der Hämophilie B ist es so, dass wir schon länger halbwertzeitverlängerte Konzentrate hatten, wo man einmal pro Woche intravenös gespritzt hat, damit auch in Deutschland exzellente Blutungsraten hat, und mit Marstacimab jetzt für die Nicht-Hemmkörper-Patienten mit einer schweren Hämophilie A und B eine subkutane Therapie für die Hämophilie B vorhanden ist, sodass wir – das haben wir hier schon einmal diskutiert – für Concizumab den primären Vorteil bei einer Subpopulation gesehen haben. Das waren die Patienten mit einer Hämophilie B, die einen Antikörper gegen den Faktor IX entwickelt haben und für die es praktisch keine prophylaktische Behandlung gab.

Bei allen anderen Patienten gibt es die Studiensystematik, und da muss ich Herrn Wörmann vollkommen recht geben, nicht her, in irgendeiner Form zu sagen, das wirkt besser, schlechter oder anders als das, was wir für unsere Patienten zur Verfügung haben.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Klamroth. – Herr Eichler, haben Sie Ergänzungen?

Herr Prof. Dr. Eichler (GTH): Eine Ergänzung insofern, als dass die TFPI-Inhibitoren Marstacimab und Concizumab nicht identisch sind, vor allem was die Abklingzeit angeht. Das heißt, Concizumab ist ein Antikörper, der eine relativ hohe Affinität zu seinem Zielantigen hat und in deutlich geringerer Konzentration im Plasma vorhanden ist, als es Marstacimab ist. Das hat Konsequenzen für das Switchen, wenn man von dieser Therapie zu einer Standardtherapie im Rahmen von Operationen zum Beispiel geht oder bei der Patienten ... (akustisch unverständlich). Diese zweckmäßige Vergleichstherapie für die Hämophilie-B-Patienten, also die halbwertszeitverlängerten Faktor-IX-Präparate, sind anders als diese Subkutantherapie. Wenn man sich die Belastungen des Patienten durch die Therapie anschaut, ich war in der Studie dabei gewesen, dann berichten die Patienten, dass die Concizumab-Gabe mit diesem ultradünnen Nadelpen eine erhebliche Erleichterung ist. Zweckmäßige Vergleichstherapie bezogen auf die Belastung der Patienten durch die Therapie, da kann man eigentlich die i.v.-Therapie nicht mehr heranziehen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Professor Eichler. – Frau Bickel, bitte.

Frau Bickel: Ich habe eine Nachfrage: Zu den aus humanem Plasma gewonnenen Präparaten haben Sie, glaube ich, sehr deutlich in Ihrer Stellungnahme geschrieben, dass die keine Bedeutung mehr haben bzw. nicht mehr empfohlen werden. Das geht nicht so deutlich aus Ihrer mündlichen Äußerung hervor. Vielleicht sagen Sie noch etwas dazu. Was ist mit diesen aus humanem Plasma gewonnenen Präparaten?

Herr Prof. Dr. Eichler (GTH): Wenn Sie mir erlauben, das noch zu sagen: Die mit humanem Plasma gewonnenen Präparate müssen aufgrund ihrer kurzen Halbwertszeit sehr viel häufiger appliziert werden und – das ist das Entscheidende – die Talspiegel, also die minimalen Aktivitäten, die man damit erreicht, liegen deutlich unter den Talspiegeln, die man mit den halbwertszeitverlängerten Faktor-IX-Produkten erreichen kann. Auch bei den Faktor-VIII-Produkten ist das der Fall.

Wir legen als Behandler großen Wert darauf, dass die Gelenkgesundheit langfristig erhalten bleibt. Wir haben gute Daten, die zeigen, dass je geringer die Talspiegel sind, je weniger Anwesenheit von therapeutischen Agents, desto schlechter ist die langfristige Prognose für die Gelenke. Deshalb sind die plasmatischen Produkte weitgehend aus der Verwendung verschwunden, weil wir damit bei den Patienten die Gelenkgesundheit nicht langfristig erhalten können.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Professor Eichler. – Ich sehe keine weitere Wortmeldung bei den Klinikern. Herr Dr. Bassus von Novo Nordisk, bitte.

Herr Dr. Dr. Bassus (Novo Nordisk): Ich wollte kurz erklären, wie es zu diesem Studiendesign kam. Novo Nordisk ist ein global agierendes Unternehmen, und die multinationale Explorer8-Studie wurde in 32 Ländern durchgeführt. In keinem der teilnehmenden Länder wird für neue Präparate in der Hämophilie von den Zulassungsbehörden eine randomisierte kontrollierte Studie gegen Faktorkonzentratprophylaxe gefordert. Novo Nordisk hat sich entschieden, die Explorer8-Studie als RCT Concizumab-Prophylaxe gegen Faktorkonzentrat-Therapie durchzuführen. Das war der Hintergrund, warum die Studie jetzt so aussieht, wie Sie sie vorliegen haben.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Bassus. – Frau Bickel, bitte.

Frau Bickel: Darf ich noch eine Frage zur zweckmäßigen Vergleichstherapie stellen?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, natürlich.

Frau Bickel: Welche Bedeutung hat die Gentherapie?

Herr PD Dr. Klamroth (GTH): Das werde ich beantworten, Frau Bickel. Die Gentherapie in der Hämophilie B hat meiner Meinung nach eine Bedeutung, weil jetzt die Fünf-Jahres-Daten publiziert worden sind. Man hat bei den Patienten eine konstante Expression. Die Patienten, die in der Studie waren, bei denen es am Anfang funktioniert hat, haben auch über diese fünf Jahre eine konstante Expression gehabt. Aus der Phase-I-Studie mit dem gleichen Vektorprodukt sind Patienten, die über neun Jahre schon eine konstante Expression hatten. Die Hämophilie B, ja, ich glaube, das ist eine Alternative, aber nur für ein ausgewähltes Subset von Patienten, größer 18 Jahre alt, gesunde Leber, für die Gentherapie geeignet. Ich denke auch, dass da zwar wenige, aber immer noch einige Patienten therapiert werden und die auch weiter bekommen.

In der Hämophilie A sieht es ein wenig anders aus. Da ist die Gentherapie so, dass sie definitiv nicht so lange wirksam ist, dass sie im günstigen Fall für acht bis zehn Jahre hält, aber durchaus kürzer halten kann. Die Firma BioMarin, das haben Sie vielleicht schon gehört, möchte sich von der Gentherapie trennen. Das heißt, die Gentherapie wird im ungünstigsten Fall, falls sich kein Käufer dafür findet, für die Hämophilie A ab Sommer nicht mehr verfügbar sein, weil die Firma das nicht weiter vertreibt und wenn sie es nicht veräußern kann, den Vertrieb wahrscheinlich einstellt.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. Herr Klamroth. – Frau Bickel, bitte.

Frau Bickel: Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke. – Frau Groß, GKV-SV, bitte.

Frau Groß: Meine Frage, warum keine Studie gegenüber einer Routineprophylaxe durchgeführt wurde, ist mittlerweile beantwortet worden, weil die von den Zulassungsbehörden nicht gefordert werden. Damit hat sich das erledigt.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Frau Barnert vom IQWiG, bitte.

Frau Barnert: Ich möchte dazu auch gerne etwas fragen. Wir haben in dieser Situation oft das Problem, dass wir keine vergleichende Evidenz haben. Jetzt haben Sie eine vergleichende Evidenz vorgelegt. Wir haben eine teilrandomisierte Studie. Umso bedauerlicher ist es, dass wir hier die Daten für die Nutzenbewertung nicht heranziehen können. Auch wenn die Zulassungsbehörden das nicht empfehlen, sie verbieten nicht gegen eine Routineprophylaxe zu testen. Das ist uns auch ganz wichtig. Sie hätten hier durchaus eine Studie durchführen können. Wenn man sich ansieht, welche europäischen Länder beteiligt waren, dann waren einige europäische Länder beteiligt, wo man davon ausgehen kann, dass in diesen Ländern durchaus die Routineprophylaxe im Versorgungsstandard etabliert ist. Wir haben uns gefreut, dass wir vergleichende Evidenz haben, aber wir hätten uns noch mehr gefreut, hätten wir sie auch für die Nutzenbewertung heranziehen können. Die Zulassungsbehörde hätte das hier sicher nicht verboten.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Barnert. – Möchte der pU das kommentieren? – Herr Dr. Bassus, bitte.

Herr Dr. Dr. Bassus (Novo Nordisk): Ich kann mich nur wiederholen. Ein Unternehmen, das global agiert – und da ist der europäische Markt nur ein kleiner Teil –, orientiert sich am gesamten Weltmarkt. Wenn es dort möglich ist, was kein Nachteil ist, gegen eine On-Demand-Therapie zu vergleichen, wählt man diese Chance, um die Studie wahrscheinlich auch schneller durchzuführen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Ich habe eine Wortmeldung von Herrn Dr. Rascher. Bitte schön.

Herr Prof. Dr. Dr. Rascher (AkdÄ): Auch vonseiten der AkdÄ muss festgestellt werden, dass es sehr schade ist, dass keine Prophylaxe als Kontrollgruppe aufgeführt ist. Das hätte man

wirklich machen können. Natürlich kann man so argumentieren, aber das führt dazu, dass wir keine validen Daten für die Nutzenbewertung haben.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Professor Rascher. – Ich schaue in die Runde. Gibt es weitere Wortmeldungen oder Fragen? – Das sehe ich nicht. Dann gebe ich das Wort an Frau Wagenschieber, um ein Fazit aus Ihrer Sicht zu ziehen, sofern das gewünscht ist.

Frau Wagenschieber (Novo Nordisk): Sehr geehrter Herr Professor Hecken! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank für die heutige Diskussion. Wir möchten die Vorteile von Concizumab noch einmal klar herausstellen. Concizumab ist nicht einfach eine weitere Therapieoption, es ist ein innovatives Produkt mit Eigenschaften, die einen tatsächlichen Unterschied in der Versorgung von Menschen mit Hämophilie machen. Es ist ein Produkt, das die Therapie nachhaltig nicht nur verändern, sondern vor allem auch verbessern kann.

In der Gesamtschau sehen wir daher für beide Teilpopulationen einen klaren Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen, der auf der Basis der vorliegenden Evidenz zwar nicht quantifizierbar ist, aber einen Zusatznutzen, der auf der einfachen und alltagstauglichen Anwendung mit einer besonders kurzen und schmalen Nadel beruht, der auf dem zuverlässigen und hohen Blutungsschutz beruht, ohne dabei Abstriche im Sicherheitsprofil zu machen. Wir sehen einen Zusatznutzen, der auf dem innovativen Wirkmechanismus beruht, der es nicht mehr erforderlich macht, eine routinemäßige Überwachung durchzuführen.

Für Patienten mit der mittelschweren Hämophilie B mit einer Faktorrestaktivität ≤ 2 Prozent, bedeutet Concizumab die erste zugelassene subkutane Therapieoption überhaupt. Concizumab steht damit auch für Patienten mit Hämophilie A und B ohne Hemmkörper für einen echten Fortschritt in der Therapie – nicht nur medizinisch, sondern vor allen Dingen tagtäglich spürbar für die Betroffenen. – Damit danke für die konstruktive Diskussion. Wir freuen uns auf die weitere Zusammenarbeit.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank an Sie und Ihr Team. Herzlichen Dank an die klinischen Expertinnen und Experten. Wir werden das zu diskutieren haben. Ich beende damit diese Anhörung, wünsche Ihnen noch einen schönen Resttag. Herzlichen Dank.

Schluss der Anhörung: 15:13 Uhr