

Mündliche Anhörung

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

hier: Dupilumab (D-1258 und D-1309)

Sitzung im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 21. September 2026
von 10:00 Uhr bis 10:18 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Sanofi-Aventis Deutschland GmbH**:

Herr Dr. Möcker

Frau Dr. Rauber-Ellinghaus

Frau Dr. Kurucz

Angemeldete Teilnehmende der **Deutschen Dermatologische Gesellschaft (DDG)**:

Herr Prof. Dr. Augustin

Herr Dr. von Kiedrowski

Angemeldeter Teilnehmender der **Charité - Universitätsmedizin Berlin**:

Herr Prof. Dr. Metz

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

Frau Dr. Dawkins

Herr Wohlgemuth

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Almirall Hermal GmbH**:

Herr Diemert

Herr Boelz

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 10:00 Uhr

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Meine sehr verehrten Damen und Herren, einen schönen guten Morgen! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses zur ersten Anhörung heute! Es ist wieder Anhörungsmontag, und wir beschäftigen uns jetzt mit dem Wirkstoff Dupilumab in der Indikation chronische spontane Urtikaria in den Altersgruppen Kinder von zwei bis zwölf Jahren und für alle, die älter als zwölf Jahre sind, also eine Nutzenbewertung auf zwei Gebieten. Basis der heutigen Anhörung sind das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers und die Dossierbewertung des IQWiG vom 7. August 2026.

Schriftliche Stellungnahmen haben wir vorliegen vom pharmazeutischen Unternehmer Sanofi-Aventis, von der Deutschen Dermatologischen Gesellschaft zusammen mit dem Institut für Allergieforschung der Charité Berlin und der Sektion Urtikaria des Hautnetz Deutschland e. V., von Novartis Pharma und Almirall Hermal GmbH sowie vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir wie immer ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Sanofi-Aventis Deutschland müssten anwesend sein Herr Dr. Möcker, Frau Dr. Rauber-Ellinghaus und Frau Dr. Kurucz, für die Deutsche Dermatologische Gesellschaft Herr Professor Dr. Augustin und Herr Dr. von Kiedrowski

(Herr Professor Dr. Augustin, DDG: Er ist noch im Zug unterwegs und wird etwas verspätet sein. Er hat mir gerade eine SMS geschickt.)

– dann hoffen wir, dass er gleich noch zu uns stößt, – für die Charité Universitätsmedizin Berlin Herr Professor Dr. Metz, für Novartis Pharma Frau Dr. Dawkins und Herr Wohlgemuth, für Almirall Hermal Herr Diemert und Herr Boelz sowie für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller 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. Kurucz (Sanofi-Aventis): Ich übernehme das gerne.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Sie haben das Wort.

Frau Dr. Kurucz (Sanofi-Aventis): Wunderbar. – Sehr geehrte Frau Dr. Optendrenk! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank zunächst für die freundliche Begrüßung. Wir freuen uns über die Möglichkeit, heute mit Ihnen über Dupilumab als neuer therapeutischen Option zur Behandlung der mittelschweren bis schweren chronischen spontanen Urtikaria bei erwachsenen und jugendlichen Patienten ab zwölf Jahren sowie Kindern von zwei bis elf Jahren sprechen zu können. Zunächst möchte ich Ihnen kurz das Team von Sanofi für diese Anhörung vorstellen: Mit mir zusammen sind hier Herr Dr. Möcker, der maßgeblich an der Erstellung der Dossiers und der Stellungnahme beteiligt war, sowie Frau Dr. Rauber-Ellinghaus aus unserer medizinischen Fachabteilung. Mein Name ist Reka Kurucz, und ich bin bei Sanofi Teamleiterin im Bereich Nutzenbewertung mit den Schwerpunkten Immunologie und Neurologie.

Die chronische spontane Urtikaria, CSU, ist eine Erkrankung mit einem erheblichen Leidensdruck für Erwachsene und Jugendliche, ebenso für Kinder und ihre Familien. Betroffene leiden täglich oder nahezu täglich unter dem plötzlichen, unvorhersehbaren Auftreten von Quaddeln, Angiödemem und quellendem Juckreiz ohne erkennbare Auslöser. Der anhaltende Juckreiz raubt den Schlaf, mindert die Konzentrations- und Leistungsfähigkeit und schränkt Beruf, Schule und soziales Leben massiv ein. Die Unvorhersehbarkeit der Symptome führt nachweislich auch zu Schulabwesenheit und zu

erheblichen Einschränkungen im Berufs- und Privatleben der Eltern. Viele Patienten beschreiben das Gefühl eines Kontrollverlustes über den eigenen Alltag mit erheblichen Auswirkungen auf die psychische Gesundheit einschließlich sozialen Rückzugs und depressiver Episoden.

Die Therapielandschaft für Patienten ab zwölf Jahren, die auf H1-Antihistaminika – auch in der bis zu vierfachen Standarddosierung – nicht ausreichend ansprechen, war bislang auf Omalizumab als einzige zugelassene, moderne Systemtherapie beschränkt. Doch nicht alle Patienten profitieren von dieser Therapie, denn etwa zwei Drittel der Patienten erreichen keine vollständige Krankheitskontrolle. Insbesondere Patienten mit autoimmunbedingter CSU und niedrigen IgE-Ausgangswerten sprechen häufig unzureichend auf eine anti-IgE-basierte Therapie an. Für Kinder von zwei bis elf Jahren stellt sich die Versorgungssituation noch gravierender dar. Omalizumab ist für diese Altersgruppe in der CSU-Indikation nicht zugelassen. Daher kommen neben einem Off-Label-Use häufig nur mit erheblichen Nebenwirkungen verbundene orale Kortikosteroide infrage.

Dupilumab schließt nun diese therapeutische Lücke. Als rekombinanter, humaner, monoklonaler Antikörper blockiert Dupilumab die zellulären Signalwege der zentralen Treiber einer Typ-2-Inflammation, die an der CSU-Pathogenese maßgeblich beteiligt ist. Dupilumab entfaltet seine Wirksamkeit unabhängig vom Gesamt-IgE-Spiegel bei Baseline. Dies ist ein klinisch bedeutsamer Vorteil für jene Patienten mit niedrigen IgE-Werten, die unter Omalizumab häufig nicht ausreichend ansprechen.

Für Kinder von zwei bis elf Jahren steht mit Dupilumab erstmals eine zugelassene, zielgerichtete Systemtherapie zur Verfügung. Die klinische Wirksamkeit und Sicherheit von Dupilumab wurden in den zwei randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Phase-III-Studien LIBERTY-CSU CUPID A und C über jeweils 24 Wochen belegt. Die Ergebnisse zeigen statistisch signifikante Verbesserungen im Urtikaria-Aktivitätsgesamtscore sowie in den Einzelkomponenten Juckreiz- und Quaddelscore. Der Anteil der Patienten mit gut kontrollierter Erkrankung sowie vollständiger Symptombefreiheit war unter Dupilumab signifikant höher. Patienten berichteten zudem eine deutliche Verbesserung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität, und gleichzeitig zeigte Dupilumab sein bekanntes, günstiges Sicherheitsprofil.

Für Kinder von zwei bis elf Jahren wurde die klinische Wirksamkeit und Verträglichkeit von Dupilumab zusätzlich in der Studie CUPIDKids untersucht. Die Ergebnisse und das Sicherheitsprofil sind konsistent mit den Daten für Patienten ab zwölf Jahren aus der Studie CUPID A und aus der Studie CUPID C.

Diese positive Evidenz erfährt entsprechend klinisch-wissenschaftliche Anerkennung. Die aktualisierte internationale Leitlinie aus dem Jahr 2026 empfiehlt Dupilumab als Therapieoption bei CSU. Darüber hinaus adressiert der Wirkmechanismus von Dupilumab durch die Hemmung in der gemeinsamen Typ-2-Entzündungspathogenese relevante Komorbiditäten wie atopische Dermatitis und Asthma, die bei CSU-Patienten, insbesondere bei Kindern und Jugendlichen, gehäuft auftreten. Die vorliegenden klinischen Daten aus den Studien CUPID A und CUPID C sowie CUPIDKids demonstrieren den medizinischen Nutzen von Dupilumab für beide Patientenpopulationen und belegen eine signifikante Reduktion der Krankheitssymptomatik, eine spürbare Verbesserung der Lebensqualität und ein günstiges Sicherheitsprofil im Anwendungsgebiet. Dupilumab schließt insbesondere für Kinder von zwei bis elf Jahren eine bedeutende Therapielücke, für die bislang keine zugelassene Systemtherapie existierte.

Obwohl im Rahmen der frühen Nutzenbewertung kein Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie abgeleitet werden konnte, ist der medizinische Nutzen klar demonstriert. – Vielen Dank für die Aufmerksamkeit. Wir freuen uns nun auf die anstehende Diskussion.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Ich darf auch Herrn Dr. von Kiedrowski begrüßen, der der schlechten Netzqualität zum Opfer gefallen ist. Herzlichen Dank, dass Sie heute dabei sind.

Herr Dr. von Kiedrowski (DDG): Guten Morgen!

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Guten Morgen. – Ich beginne mit einer Frage an die Kliniker im Anhörungsraum: Wie sieht der aktuelle Therapiestandard in der Behandlung der mittelschweren bis schweren chronischen spontanen Urtikaria aus? Vielleicht könnten Sie dabei insbesondere den Bereich der Kinder und der Therapiesituation von Kindern erläutern. Ich glaube, das wäre aus Ihrer Sicht hilfreich. Ich frage einmal in die Runde, wer starten will. Sie können sich wie immer mit einem X oder mit der Hand melden. Herr Professor Augustin hat das schon getan. Dann haben Sie das Wort.

Herr Prof. Dr. Augustin (DDG): Vielen Dank, Frau Optendrenk. Die Vorgehensweise der therapeutischen Standards richtet sich nach der Leitlinie, die wir haben. Diese Leitlinie sieht primär den Einsatz von oralen Antihistaminika der neueren Generation vor, und diese werden nach der Leitlinie erst in einfacher, dann in erhöhter Dosis – bis zu vierfacher Dosierung – gegeben, wenngleich dies off-label ist. Aber das ist immer den weiteren Schritten vorgeschaltet. Im Weiteren ist das therapeutische Feld bisher nicht sehr weit gewesen, anders als bei Neurodermitis oder bei Psoriasis. Bei den Erwachsenen wurde dann Omalizumab on-label eingesetzt, bei den Kindern unter zwölf Jahren off-label. Aber das ist bei denjenigen ein schneller Weg dorthin, die auf die Antihistaminika nicht gut ansprechen.

Man sollte vielleicht noch erwähnen, dass nach unseren Daten, die wir als Krankenkassendaten publiziert haben, sehr viele Kinder mit chronischer Urtikaria stationär aufgenommen werden, und das wäre eine Alternative. Bislang war das ein hoher Anteil, von dem wir hoffen, dass er bei der zukünftigen leitliniengerechten Therapie geringer wird.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Dann schaue ich in die Runde, ob es Ergänzungen oder weitere Fragen gibt. Herr Professor Metz, bitte.

Herr Prof. Dr. Metz (Charité): Als Ergänzung möchte ich aus der Urtikaria-Spezialsprechstunde, die wir bei uns in Berlin an der Charité durchführen, insbesondere die Problematik, die Herr Professor Augustin angesprochen hat, für die Kinder unter zwölf Jahren ansprechen. Wir sehen diese Patienten auch. Dort wird gemäß der Leitlinie therapiert, wie gerade dargestellt, aber bislang ohne, dass dafür eine Zulassung besteht. Das heißt, die meisten Kinder unter zwölf Jahren haben entweder keine Therapie jenseits der Antihistaminika oder mit einem Off-Label-Antrag das Omalizumab erhalten. Ich wollte die Besonderheit in dieser jüngeren Patientengruppe hervorheben.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Marx vom GKV-Spitzenverband, bitte.

Herr Dr. Marx: Ich habe eine Frage zur leitliniengerechten Therapie, und zwar konkret bezüglich der bis zu vierfachen Dosierung der Antihistaminika. Man geht bis auf das Vierfache über die zugelassene Dosis hinaus, um zu behandeln. Meine Frage wäre: Wie oft muss man bis zum Vierfachen gehen? Wie oft sind Patienten da noch therapierefraktär? Bei welchem Anteil der Patienten reicht vielleicht die doppelte oder dreifache Dosis? Was können Sie dazu aus der Praxis berichten? Das würde mich sehr interessieren.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Metz.

Herr Prof. Dr. Metz (Charité): Ich könnte einmal kurz aus der Praxis berichten, und Herr Augustin kann das vielleicht noch mit Daten untermauern. Die Studienlage sieht so aus, dass wir zahlreiche Anwendungsbeobachtungen und Ähnliches haben, auch im Bereich von chronisch induzierbaren Erkrankungen, kontrollierte Studien, wo eine höhere Dosierung gemacht wurde. Allerdings ist es sehr heterogen. Wir sagen im Allgemeinen, dass wir bei der chronischen spontanen Urtikaria ungefähr 10 Prozent der Patienten mit der

Standarddosierung adäquat therapieren können, dann aber bis zu 40 Prozent mit der höheren Dosierung auf das Vierfache.

Wir können das nicht auf zweifach, dreifach, vierfach herunterbrechen, weil die entsprechenden kontrollierten Studien dort nicht durchgeführt wurden. Es gibt manchmal Studien zu einer zweifachen Dosierung, manchmal Studien zu einer vierfachen Dosierung. Im klinischen Alltag würde man die schrittweise Höherdosierung nach Aufklärung der Patienten vornehmen. Das heißt, dass man es erst verdoppelt und wenn notwendig dann vervierfacht. Man kann sagen, ja, es gibt Patienten, bei denen zwei Tabletten eine Besserung bringen, bei den meisten muss auf eine Vierfachdosierung gegangen werden.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Herr Metz. – Herr Augustin, wollen Sie ergänzen?

Herr Prof. Dr. Augustin (DDG): Es war vollkommen richtig, was Herr Professor Metz sagte. Vielleicht noch ergänzend: Diese Vorgehensweise wird in der breiten Praxis häufig nicht durchgeführt, auch nicht die Stringenz durchgeführt. Dadurch haben wir sehr viele Patienten, ob das Jugendliche oder auch Erwachsene sind, die auf geringeren Dosierungen verbleiben und unkontrolliert sind. Dieser Anteil von Personen, die mit spontaner Urtikaria unkontrolliert sind, ist enorm hoch, sodass hier eine große Versorgungslücke besteht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Marx, ist Ihre Frage damit beantwortet?

Herr Dr. Marx: Ja, vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ich schaue einmal, ob es weitere Fragen gibt. Es dauert manchmal etwas, bis der eine oder andere im Chat dazugekommen ist. Aber wenn ich es richtig sehe, gibt es keine weiteren Fragen. Sonst müsste man sich noch melden. – Dann ist es so, wie es ist. Anscheinend sind alle Fragen entweder durch Ihren Vortrag am Anfang erläutert oder durch die Stellungnahmen erledigt. Dann bleibt mir nur, dem pharmazeutischen Unternehmer das letzte Wort zu geben. Frau Kurucz, bitte.

Frau Dr. Kurucz (Sanofi-Aventis): Vielen Dank, Frau Dr. Optendrenk. Sehr geehrte Damen und Herren! Wir haben in den vergangenen Minuten doch noch wichtige Themen, unter anderem zum Einsatz und dem therapeutischen Stellenwert von Dupilumab in der chronischen spontanen Urtikaria bei Erwachsenen und Kindern diskutiert. Wir sehen, Dupilumab ist eine zugelassene, gut verträgliche Langzeittherapieoption für Patienten mit anhaltender hoher Krankheitslast. Es ermöglicht ein Behandlungskonzept, das über Antihistaminika und eine anti-IgE-basierte Therapie hinausgeht und somit einen bisher ungedeckten hohen medizinischen Bedarf adressiert. – Jetzt bedanken wir uns für die Diskussion und Ihre Zeit und wünschen Ihnen eine gute Woche.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Das wünschen wir Ihnen auch. Herzlichen Dank, dass Sie zur Anhörung gekommen sind und für die Fragen bereitgestanden haben. Jetzt haben wir alle zusätzlich ein halbes Stündchen an Lebenszeit gewonnen. Ich wünsche Ihnen einen guten Start in die Woche und alles Gute.

Schluss der Anhörung: 10:18 Uhr