

Mündliche Anhörung



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**

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

hier: Pegcetacoplan (D-1292 + D-1293)

Videokonferenz des Gemeinsamen Bundesausschusses
am 22. Juni 2026
von 14:20 bis 14:41 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi)**:

Herr Hohmann

Frau Groetsch

Frau Dr. Langenfeld

Herr Dr. Girgel

Angemeldete Teilnehmende für die **Deutsche Gesellschaft für Nephrologie e. V. (DGfN)**:

Herr Prof. Dr. Floege

Frau Prof. Dr. Weinmann-Menke

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Novartis Pharma GmbH**:

Frau Budden:

Frau Florschütz

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Novo Nordisk Pharma GmbH**:

Frau Dr. Kuckelsberg

Frau Dr. Stückemann

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Roche Pharma GmbH**:

Herr Dr. Peters

Herr Dr. Schwaderer

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 14:20 Uhr

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Ich hoffe, ich bin zu sehen und zu hören. – Gut. Ich entschuldige mich für die Verzögerung. Wir hatten gerade eine etwas länger andauernde Anhörung. Aber nichtsdestotrotz starten wir jetzt mit der Anhörung zu Pegcetacoplan – nicht ganz einfach auszusprechen, das gilt auch für die Indikation, um die es heute geht – zur Behandlung von Jugendlichen ab zwölf Jahren und Erwachsenen, zum einen mit C3-Glomerulopathie oder mit primärer Immunkomplex-vermittelter membranoproliferativer Glomerulonephritis.

Zugrunde liegt für die heutige Anhörung die Bewertung der Fachberatung Medizin vom 15. Mai 2026. Und in diesem Verfahren haben Stellung genommen neben Sobi als pharmazeutischem Unternehmer, die Firma Novo Nordisk, die Novartis Pharma GmbH, Roche Pharma AG, der VfA sowie Professor Dr. Floege und Frau Professor Dr. Weinmann-Menke von der Deutschen Gesellschaft für Nephrologie.

Für das Protokoll muss ich einmal die Anwesenheit der Teilnehmer der heutigen Anhörung feststellen. Das ist für Sobi Herr Hohmann.

Herr Hohmann (Swedish Orphan Biovitrum AB): Anwesend. Guten Tag!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Frau Groetsch?

Frau Groetsch: Guten Tag! Anwesend.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Frau Dr. Langenfeld?

Frau Dr. Langenfeld (Sobi): Anwesend.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Herr Dr. Girgel?

Herr Dr. Girgel (Sobi): Anwesend. Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Dann für die DGfN Professor Dr. Floege?

Herr Prof. Dr. Floege (DGfN): Frau Weinmann-Menke kann leider nicht teilnehmen.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Ah, vielen Dank für die Information. – Dann für die Firma Novo Nordisk, Frau Dr. Kuckelsberg?

Frau Dr. Kuckelsberg (Novo Nordisk Pharma GmbH): Hallo! Ich bin da.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Frau Dr. Stückemann?

Frau Dr. Stückemann (Novo Nordisk Pharma GmbH): Ja. Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Für Novartis Pharma sind Frau Budden -

Frau Budden (Novartis Pharma GmbH): Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): – und Frau Florschütz angemeldet.

Frau Florschütz (Novartis Pharma GmbH): Auch anwesend. Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Für Roche Pharma: Herr Dr. Peters?

Herr Dr. Peters (Roche Pharma GmbH): Ja. Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Und Herr Dr. Schwaderer?

Herr Dr. Schwaderer (Roche Pharma GmbH): Jawohl, ich bin auch anwesend. Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Und für den VfA begrüßen wir Herrn Herden.

Herr Herden (VfA): Anwesend. Hallo!

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Gut. – Wem von der Firma Sobi darf ich das Wort übergeben? Wer macht die Einführung von Ihnen? Herr Hohmann?

Herr Hohmann (Sobi): Genau. Vielen Dank. – Sehr geehrte Frau Dr. Nies! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen herzlichen Dank für die kurze Begrüßung und die einleitenden Worte zur heutigen Anhörung. Wenn Sie erlauben, Frau Nies, würden wir mit einer kurzen Vorstellung des Sobi-Teams für die heutige Anhörung beginnen. Dafür übergebe ich das Wort direkt an meine Kollegen, beginnend mit Frau Groetsch.

Frau Groetsch (Sobi): Guten Tag! – Mein Name ist Anne Groetsch, und ich bin als Market-Access-Managerin für das Dossier verantwortlich.

Frau Dr. Langenfeld (Sobi): Mein Name ist Benedikta Langenfeld, und ich leite seitens Sobi das medizinische Team für Komplement-vermittelte Erkrankungen und metabolische Erkrankungen.

Herr Dr. Gírgel (Sobi): Hallo! Stefan Gírgel. Ich bin Medical Advisor bei Sobi im Bereich der Complement-Mediated Diseases und habe am Dossier mitgearbeitet.

Herr Hohmann (Sobi): Mein Name ist David Hohmann. Ich verantworte bei Sobi den Market Access Bereich. – Zu Beginn möchte ich kurz auf Sobi eingehen. Wie der Name Swedish Orphan Biovitrum, kurz Sobi, schon sagt, liegt unser Fokus auf der Entwicklung von Medikamenten für seltene oder sehr seltene Erkrankungen.

Und genau darum geht es heute: um Pegcetacoplan, den ersten krankheitsmodifizierenden C3-Komplementinhibitor zur Behandlung der C3-Glomerulopathie, im Weiteren kurz als C3G bezeichnet, und der primären Immunkomplex-vermittelten membranoproliferativen Glomerulonephritis, in der Folge als primäre IC-MPGN abgekürzt.

Beide Erkrankungen sind seltene, chronisch progrediente Nierenerkrankungen, die durch eine Dysregulation des Komplementsystems verursacht werden. Sie zeigen zwar ein ähnliches klinisches Bild, sind jedoch eigenständige Erkrankungen, die anhand typischer Ablagerungsmuster in der Nierenbiopsie unterschieden werden. Beiden gemeinsam ist eine Überaktivierung des Komplementsystems. Diese führt zu Entzündungsprozessen in der Niere, zu Proteinurie und zu einer fortschreitenden Verschlechterung der Nierenfunktion.

Etwa die Hälfte der Patienten erreicht innerhalb von fünf bis zehn Jahren nach Diagnosestellung ein Stadium, das eine Dialyse oder eine Transplantation der Niere erforderlich macht. Gerade weil die Erkrankung in frühen Stadien oft asymptomatisch verläuft, ist eine frühzeitige Intervention entscheidend, um irreversible Schäden der Niere durch anhaltende Entzündungsprozesse zu verhindern und das Organ zu erhalten.

Für jugendliche und erwachsene Patienten mit C3G und primärer IC-MPGN besteht weiterhin ein hoher medizinischer Bedarf an einer verlässlich und schnell wirksamen krankheitsmodifizierenden Therapie. Die Behandlung in diesem übergreifenden Anwendungsgebiet beschränkt sich bisher auf reine Symptomlinderung über Off-Label-Therapien mit teils erheblichen Nebenwirkungen. Die Möglichkeit einer kausalen Komplementtherapie besteht für eine Subgruppe dieser Population erst seit dem vergangenen Jahr.

Pegcetacoplan greift zentral dort ein, wo die krankheitsverursachende Überaktivierung zusammenläuft. Als erster C3-Inhibitor blockiert es alle drei Aktivierungswege des Komplementsystems, wodurch die andauernde Entzündung gestoppt wird. Gleichzeitig wird die Verstopfung der Glomeruli durch Ablagerungen reduziert. Somit adressiert Pegcetacoplan nicht nur Symptome, sondern als kausale Therapie wirklich die zugrunde liegende Ursache der Erkrankungen.

Mit der VALIANT-Studie liegt für dieses Ultra-Orphan-Setting eine robuste, hochwertige und umfassende Evidenzbasis vor: eine multizentrische, randomisierte, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Phase-3-Studie mit anschließender, offener Extensionsphase und insgesamt für 52 Wochen Behandlungsdaten. Pegcetacoplan zeigte hierbei bereits frühzeitig nach Therapiebeginn und darüber hinaus dauerhaft ausgeprägte, konsistente, signifikante und klinisch

bedeutsame Effekte auf die relevanten Krankheitsmarker. Dazu zählen eine deutliche und statistisch signifikante Reduktion der Proteinurie im Vergleich zu Placebo, eine Stabilisierung der Nierenfunktion und eine deutliche Rückbildung der C3-Ablagerungen in der Niere. Alle drei Endpunkte sind für die Kontrolle der Erkrankung aus klinischer Sicht hochrelevant und wichtige Therapieziele auf dem Weg zum Erhalt der Nierenfunktion und letztendlich des Organs.

In der Studie wurden gezielt überwiegend asymptomatische Patienten eingeschlossen, um den Krankheitsverlauf frühzeitig stoppen und kontrollieren zu können. Zudem ist das Sicherheitsprofil vom Pegcetacoplan insgesamt unbedenklich und vergleichbar mit Placebo, was gerade vor dem Hintergrund der bisherigen Standardtherapie mit relevanten Nebenwirkungen bedeutend ist.

Eine weitere Besonderheit für den klinischen Alltag ist die Konsistenz der beobachteten Effekte über verschiedenste Patientengruppen und Therapiekonstellationen hinweg. Als Beispiel seien hier die verschiedenen Altersgruppen, Krankheitsentitäten, die immunsuppressive Vor- oder Begleittherapie oder der Transplantationsstatus der Patienten genannt.

Zusammenfassend lässt sich also sagen: Mit Pegcetacoplan steht im Anwendungsgebiet der C3G und der primären IC-MPGN eine neue krankheitsmodifizierende Behandlung mit neuem Wirkmechanismus zur Verfügung, die den hohen therapeutischen Bedarf von jugendlichen und erwachsenen Patienten gerade im frühen asymptomatischen Stadium zielgerichtet adressiert und somit zum langfristigen Erhalt der Nierenfunktion und des Organs beitragen kann. Pegcetacoplan markiert somit einen Paradigmenwechsel in der Behandlung dieser beiden seltenen chronischen Nierenerkrankungen.

Ich danke für Ihre Aufmerksamkeit und damit stehen wir Ihnen nun für Fragen zur Verfügung.
– Herzlichen Dank.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Vielen Dank für die Einführung, Herr Hohmann. – Sie haben es kurz angesprochen: Seit März steht ja auch Iptacopan zumindest für die C3G zur Verfügung. Meine Frage richtet sich in diesem Zusammenhang an Herrn Floege. Welchen Stellenwert in der Versorgung hat denn das Iptacopan derzeit gegenüber Pegcetacoplan?

Herr Prof. Dr. Floege (DGfN): Das sind beides komplett neue Behandlungsansätze. Ob der eine besser ist als der andere, kann man nicht sagen, weil es keine Head-to-Head-Vergleichsstudie gibt.

Bisher – jetzt spreche ich nicht nur für die DGfN, sondern auch als weltweiter Koordinator für die Leitlinien zur Behandlung dieser seltenen und ultraseltenen Erkrankungen – haben wir gesagt, Sie können Immunsuppressionen probieren mit allen Risiken, insbesondere bei Adoleszenten. Und wenn das nicht funktioniert, können Sie Eculizumab probieren, einen C5-Antikörper, der interessanterweise nur bei einem kleinen Bruchteil wirksam ist – es gibt eine Studie aus Italien: drei von zehn haben überhaupt nur angesprochen und dann auch nur mit einer Teilreduktion der Eiweißausscheidung – und der, sobald man ihn abgesetzt hat, gar nicht mehr wirkt. Also: Das ist auch keine Alternative.

Ganz klar muss man sagen: Alle Behandlung bisher ist empirisch, ist Off-Label und hat erhebliche Nebenwirkungen. Mit dem Pegcetacoplan steht erstmals eine Behandlung zur Verfügung, die sehr hoch im Komplementsystem angreift; also unten bei C5 ist offenbar zu tief. Und die Erfolge, die man sieht, sind beeindruckend. Das Beeindruckendste in der Zulassungsstudie, das für das Pegcetacoplan spricht, ist, dass es keine Subgruppe gibt, die nicht profitiert und nicht anspricht. Das ist komplett neu, und das ist in der Empirie der bisherigen Behandlungen eigentlich nie gesehen worden.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Vielen Dank. – Gibt es weitere Fragen? – Frau Schultz.

Frau Schultz (GKV-Spitzenverband): Guten Tag! – Ich habe eigentlich auch nur eine Frage an den Vertreter der Fachgesellschaften. Und zwar: Wir hatten ja gesehen, dass in der Studie die

sekundäre Form der C3-Glomerulopathie nicht eingeschlossen wurde. Wir würden gerne wissen, ob denn auch bei der sekundären Form diese Komplementinhibitoren, wie auch Pegcetacoplan einer ist, sinnhafterweise eingesetzt werden können und auch werden oder ob das aufgrund des Wirkmechanismus von Ihnen gar nicht in Betracht gezogen wird. Vielleicht könnten Sie dazu kurz ausführen.

Herr Prof. Dr. Floege (DGfN): Das gilt gleichzeitig für die Immunkomplex-MPGN. Sobald Sie eine sekundäre Form haben, ist es natürlich vom Konzept her viel sinnvoller, die Grundkrankheit zu behandeln. Das ist gern eine monoklonale Gammopathie. Wenn ich die beseitige, ist auch meine C3G in der Regel im Stillstand. Es macht keinen Sinn, in dieser Situation das Komplement zu behandeln, weil das sozusagen ja das Pferd von Schwanz aufzufäumen wäre. Dann behandle ich doch lieber die Ursache.

Also insofern liegt der ganz klare Fokus – wir reden über eine hochpreisige Therapie – auf primärer C3G, wo wir eben keinen Grund finden, und auf primärer IC-MPGN. Das ist ein ultra-ultra seltenes Krankheitsbild. Und für die primäre C3G gilt es deshalb, weil wir auch da nicht in der Lage sind, eine Ursache zu finden. Eine gängige andere Ursache ist eine Endokarditis. Das Letzte, was ich bei einer Endokarditis möchte, ist das Komplementsystem lahmlegen. Das brauche ich wahrscheinlich sogar zur Abwehr. Also insofern wäre es nicht nur vom Konzept her nicht sinnvoll, sondern kann sogar nach hinten losgehen.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Vielen Dank. – Weitere Fragen, Frau Schultz?

Frau Schultz (GKV-Spitzenverband): Nein, danke.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Gibt es weitere Fragen der anderen? – Herr Lewy.

Herr Lewy: Guten Tag! Marc Lewy von der Fachberatung Medizin. Ich hätte auch noch einige Fragen an den pU und würde mal mit der ersten beginnen.

In der Nutzenbewertung hatten wir ja bereits angeführt, dass innerhalb der Baseline-Charakteristika die Definition und Grenzwerte zu den berichteten Krankheitsmanifestationen nicht dargelegt wurden. Möchten Sie an dieser Stelle vielleicht noch mal die Möglichkeit nutzen, uns die Definition bzw. Grenzwerte mitzuteilen? Also da geht es insbesondere um zum Beispiel den von Ihnen klassifizierten hohen Blutdruck, die Fatigue oder das nephrotische Syndrom

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Wer kann dazu etwas sagen vonseiten des pharmazeutischen Unternehmers? – Frau Langenfeld.

Frau Dr. Langenfeld (Sobi): Die Baseline-Charakteristika wurden ja, wie Sie schon bemerkt haben, weder definiert noch wurden Grenzen in dem Sinne von uns definiert, sodass wir Ihnen die Grenzwerte hier nicht nennen können. Allerdings lag das im Ermessen des Prüfarztes, der diese Angaben natürlich nicht nur aufgrund eines Wertes gemacht hat, sondern in der Regel natürlich auch eine Anamnese hatte, Diagnosen und gegebenenfalls auch Begleitbehandlungen dokumentiert hat. Von daher ist es eine klinische Einschätzung, eher deskriptiv, als ein in dem Sinne standardisierter, operationalisierter Wert. Zu der Behandlungsschwere und auch dem Behandlungseffekt wurden entsprechende Laborwerte, wie Vitalparameter und Funktionsparameter objektiv erhoben.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Ist die Frage so weit beantwortet, Herr Lewy? Weitere Fragen?

Herr Lewy: Genau, meine erste Frage ist fürs Erste beantwortet. Eine weitere Frage hätte ich noch: Jetzt geht es um die Begleitmedikationen. In der Stellungnahme haben Sie uns ja bereits Angaben zu den Begleitmedikationen auf Ebene der einzelnen Wirkstoffe für die Anwendungsgebiete getrennt zur Verfügung gestellt. Dafür erst mal vielen Dank.

Um allerdings in dem Fall jetzt noch Unterschiede zwischen den Behandlungsgruppen bewerten zu können, wäre es für uns wichtig, die Begleitmedikation auf Ebene der Wirkstoffklassen zu erhalten. Also zum Beispiel auf RAAS-Inhibitoren-Ebene, Beta-Blocker. Könnten Sie uns das bitte zur Verfügung stellen?

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Die Frage geht an Sobi. Können Sie das ermitteln und zur Verfügung stellen? – Frau Groetsch, bitte.

Frau Groetsch (Sobi): Wir können prüfen, ob wir das zur Verfügung stellen können.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Gut, dann auf jeden Fall die Rückmeldung dazu zeitnah bitte, bis zum Ende der Woche. – Gibt es weitere Fragen, Herr Lewy?

Herr Lewy: Nein, danke.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Dann schaue ich noch mal. Gibt es Meldungen?

Herr Prof. Dr. Floege (DGfN): Darf ich noch kurz etwas kommentieren zu den patientenrelevanten Endpunkten?

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Herr Floege, dürfen Sie.

Herr Prof. Dr. Floege (DGfN): Diese Studie sticht ja dadurch heraus, dass das mittlere Alter unter 30 war und dass insbesondere die Nierenfunktion nicht wesentlich eingeschränkt war, mittlere GFR: so etwas wie 80 bis 90. Typischerweise haben die Patienten in dem Stadium keine Symptome. Und wir haben ja seitens der DGfN mit dem G-BA die laufende Diskussion, ob man nicht doch irgendwann beginnt, Nierenfunktion als Endpunkt anzuerkennen, und nicht wartet, bis Patienten urämisches sind; erst dann bekommen sie Symptome.

Das Zweite ist, dass diese Patienten 2 Gramm Proteinurie hatten; da haben sie im schlechtesten Fall milde Ödeme, aber sie sind eben nicht nephrotisch und aufgedunsen wie so ein Michelin-Männchen, sodass man auch das schlecht als Symptomatik nehmen kann. Und dann bleibt am Ende immer nur Fatigue. Und Fatigue ist etwas so extrem Unspezifisches; das kommt auch bei meinem Klinikmitarbeitern jeden Tag als Endpunkt heraus. Das können sie fast nicht verwerten bei diesen jungen Leuten mit fast normaler Nierenfunktion. Das ist das Kerndilemma, auf das wir immer wieder hinweisen und woran wir sicherlich auch weiter arbeiten müssen.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Das nehmen wir so zur Kenntnis, Herr Floege. – Aber ich sehe, Frau König hat noch eine Frage.

Frau König (KBV): Guten Tag! – Ja, vielen Dank. Wir hätten noch eine Frage an die klinischen Stellungnehmer. Und zwar würden wir gerne von Ihnen wissen, wie denn der Behandlungsstandard für die Immunkomplex-vermittelte glomeruläre Nephropathie aussieht. Uns ist wohl bewusst, dass das für diese Bewertung im Grunde nicht die tragende Rolle spielt. Wir wüssten es aber gern.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Herr Floege.

Herr Prof. Dr. Floege (DGfN): Ja, das kann ich Ihnen rasch zusammenfassen. Das ist das, was ich eingangs sagte: komplette Empirie, komplett Off-Label. Es gibt keinen Standard. Wir empfehlen einen RAAS-Blocker, was wir bei jeder Form von chronischer Nierenerkrankung empfehlen. Und dann empfehlen wir: Sie können ja mal Corticosteroide probieren, oder Sie können Mycophenolat-Mofetil probieren, oder Sie können Endoxan versuchen. – Das ist reine Empirie. Manchmal funktioniert es so ein wenig. In der Regel funktioniert es nicht gut. Es gibt gute Daten aus Italien, die ganz klar zeigen, dass jüngere Erwachsene mit dieser Erkrankung eine 50-Prozent-Chance haben, an der Dialyse zu landen innerhalb von zehn Jahren.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Frau König, Frage beantwortet?

Frau König (KBV): Danke.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Gibt es noch weitere Fragen? – Das sehe ich im Moment nicht. Insofern: Herr Hohmann, möchten Sie noch mal zusammenfassen?

Herr Hohmann (Sobi): Ja, das kann ich gerne machen. Ich halte mich da gerne kurz. – Ich würde sagen, wir prüfen von Sobi-Seite noch mal die zusätzlichen Daten, die dort angefragt wurden, geben Ihnen Rückmeldungen, ob wir das bis zum Ende der Woche entsprechend nachreichen. Und ansonsten bedanke ich mich für die Ausführungen von Herrn Professor Floege und für Ihre Fragen. Ich würde sagen: Damit haben wir es.

Frau Dr. Nies (Vorsitzende): Vielen Dank für Ihre Geduld. Noch mal Entschuldigung, was die Verzögerung angeht. Und ich wünsche Ihnen einen schönen Nachmittag. – Danke.

Tschüss.

Schluss der Anhörung: 14:41 Uhr