



Mündliche Anhörung

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

hier: Inebilizumab (D-1307)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 27. Juli 2026
von 12:05 Uhr bis 12:22 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Amgen GmbH**:

Herr Dr. Kropff
Frau Dr. Schlader-Ratzinger
Frau Dr. Flossmann
Frau Dr. Buchholz

Angemeldeter Teilnehmender des **HELIOS Hanseklunikums Stralsund, Neurologische Klinik**:

Herr Prof. Dr. Sieb

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Johnson & Johnson**:

Frau Eckhard
Herr Bilyy

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

Herr Dr. Brunnert
Frau Schneider

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Bristol-Myers Squibb GmbH & Co. KGaA**:

Frau Schmidt
Frau Hartmann

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Alexion Pharma Germany GmbH**:

Frau Emmermann
Herr Prager

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

Frau Blanks
Frau Schoppe

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 12:05 Uhr

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Es ist wieder Anhörungsmontag, und wir beschäftigen uns jetzt mit leichter Verspätung mit Inebilizumab in der Anwendung Indikation Erwachsener mit generalisierter Myasthenia gravis. Da wir etwas spät in der Zeit sind, mache ich es zügig.

Wir haben eine Bewertung in einem neuen Anwendungsgebiet. Basis der heutigen Anhörung sind das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers Amgen und die zugehörige Dossierbewertung des IQWiG vom 11. Juni 2026. Wir haben Stellungnahmen erhalten von Amgen als pharmazeutischem Unternehmen, von Herrn Professor Sieb, von weiteren pharmazeutischen Unternehmen, namentlich Alexion Pharma, Argenx Germany, Bristol-Myers Squibb, Johnson & Johnson, UCB Pharma und vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir heute wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Amgen müssten anwesend sein Herr Dr. Kropff, Frau Dr. Schlader-Ratzinger, Frau Dr. Flossmann und Frau Dr. Buchholz, für das HELIOS Hansekllinikum Stralsund, Neurologische Klinik, Herr Professor Dr. Sieb, für Johnson & Johnson Frau Eckhard und Herr Bilyy, für UCB Pharma Herr Dr. Brunnert und Frau Schneider, für Bristol-Myers Squibb Frau Schmidt und Frau Hartmann, für Alexion Pharma Germany Frau Emmermann und Herr Prager 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? Herr Dr. Kropff, ich gehe davon aus, dass Sie das wieder machen. Bitte schön.

Herr Dr. Kropff (Amgen): Sehr geehrte Frau Dr. Optendrenk! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank, dass wir an dieser Stelle die aus unserer Sicht wichtigsten Aspekte zu Inebilizumab bei Erwachsenen mit generalisierter Myasthenia gravis, kurz gMG, eingehen dürfen. Zunächst möchte ich meine Kolleginnen und Kollegen von Amgen vorstellen: Frau Dr. Michaela Schlader-Ratzinger ist für die medizinischen Aspekte von Inebilizumab in der gMG zuständig. Frau Dr. Buchholz und Frau Dr. Flossmann vertreten die Abteilung Marktzugang und waren für das Dossier verantwortlich. Mein Name ist Stefan Kropff, und ich bin Medizinischer Leiter von Amgen in Deutschland.

Für die heutige Diskussion möchten wir die folgenden zwei Aspekte besonders hervorheben: zunächst den weiterhin bestehenden therapeutischen Bedarf für Inebilizumab in der gMG sowie den Stellenwert der Substanz als erste zugelassene krankheitsmodifizierende gMG-Therapie sowie zweitens die Eignung der Zulassungsstudie MINT zur Bewertung des Zusatznutzens der Substanz bei gMG.

Zum ersten Punkt: Wie groß ist der therapeutische Bedarf für Inebilizumab als Zusatzbehandlung zur Standardtherapie der gMG? Die gMG ist eine seltene chronische und potenziell lebensbedrohliche Autoimmunerkrankung mit erheblicher Krankheitslast. Neben der belastungsabhängigen Muskelschwäche stellen insbesondere Exazerbationen bzw. myasthene Krisen eine erhebliche Belastung für die Betroffenen dar und können intensivmedizinische Behandlungen erforderlich machen. Trotz bereits verfügbarer Zusatztherapien erreichen nicht alle Patientinnen und Patienten eine ausreichende Krankheitskontrolle. Zugelassene Optionen unterscheiden sich hinsichtlich Wirklatenz, Wirkdauer und Nebenwirkungsprofilen, aber keine der bisher zugelassenen Therapien setzt an der krankheitstreibenden Pathophysiologie der Autoantikörperproduktion an. Zudem

bestehen insbesondere für Patientinnen und Patienten mit MuSK-Antikörper-positiver gMG therapeutische Limitationen.

Vor diesem Hintergrund besteht weiterhin ein relevanter therapeutischer Bedarf an wirksamen und sicheren Zusatztherapien, die an der Quelle der pathogenen Autoantikörperproduktion ansetzen, das Risiko für Exazerbationen bzw. myasthene Krisen signifikant reduzieren und eine nachhaltige Krankheitskontrolle ermöglichen können.

Wie adressiert Inebilizumab diesen therapeutischen Bedarf? Es ist die erste zugelassene krankheitsmodifizierende Zusatzbehandlung zur Standardtherapie bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit Acetylcholinrezeptor und MuSK-Antikörper-positiver gMG. Bisher verfügbare spezifische Therapien adressieren primär die Effekte der Autoantikörper, ohne die zugrunde liegende pathologische Autoantikörperproduktion zu reduzieren.

Inebilizumab ist ein monoklonaler Antikörper, der eine umfassende und nachhaltige Depletion der CD19-positiven B-Zellen über verschiedene Entwicklungsstadien hinweg ermöglicht. Dies stellt einen innovativen Therapieansatz dar, der früh im immunpathologischen Krankheitsprozess der gMG ansetzt. Zudem bietet das halbjährliche Dosierungsschema weitere Behandlungsvorteile. Vor diesem Hintergrund stellt Inebilizumab aus unserer Sicht eine relevante Therapieoption dar.

Damit komme ich zum zweiten Punkt: Warum ist die Zulassungsstudie MINT für die Nutzenbewertung relevant? Bei dieser Studie handelt es sich um eine randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie. Sie stellt aus unserer Sicht die bestverfügbare Evidenz zur Bewertung des Zusatznutzens dar. Da zum Zeitpunkt der Studieninitiierung 2020 kein einheitlich etablierter globaler Therapiestandard für die Zusatzbehandlung der gMG bestand und für Patientinnen und Patienten mit MuSK-Autoantikörper-positiver gMG keine zugelassene Zusatzbehandlung verfügbar war, ist das Studiendesign vor dem Hintergrund der damaligen Versorgungssituation – vier von fünf spezifischen Therapien sind erst nach 2022 in der EU zugelassen worden – angemessen und erlaubt eine valide Bewertung der spezifischen Behandlungseffekte von Inebilizumab.

Die Patientinnen und Patienten mussten vor Beginn und während der Studie eine Standardtherapie aus Kortikosteroiden, einem zugelassenen nicht steroidalen Immunsuppressivum oder der Kombination aus beiden erhalten. Eine methodische Besonderheit der MINT-Studie ist die Reduktion der Steroide ab Woche 4 der randomisierten kontrollierten Phase. Darüber hinaus standen umfassende Rescuetherapien zur Verfügung. Dadurch wurde sichergestellt, dass Patientinnen und Patienten trotz der verpflichtenden Steroidreduktion nicht unbehandelt blieben und bei Bedarf zeitnah stabilisiert werden konnten.

Die Ergebnisse der MINT-Studie zeigen erhebliche, teilweise in Richtung eines dramatischen Effekts weisende Vorteile in patientenrelevanten Endpunkten. In der Acetylcholinrezeptor-Antikörper-positiven Population wurden deutliche Verbesserungen über mehrere patientenrelevante Endpunkte hinweg erreicht. In der MuSK-Antikörper-positiven Population zeigte sich insbesondere bei der Vermeidung von Exazerbationen bzw. myasthenen Krisen ein ausgeprägter Behandlungsvorteil. In einem weiteren Datenschnitt für die Acetylcholinrezeptor-Antikörper-positiven Population bestätigen sich die bereits vorhandenen statistisch signifikanten und klinisch relevanten Effekte.

Aufgrund dieser statistisch hochsignifikanten und klinisch relevanten Effekte kann aus unserer Sicht von einem Vorteil gegenüber dem Versorgungsstandard ausgegangen werden. Das Ausmaß des Zusatznutzens ist aufgrund der verfügbaren Evidenz als nicht quantifizierbar einzustufen.

Zusammenfassend adressiert Inebilizumab einen weiteren relevanten therapeutischen Bedarf bei Erwachsenen mit gMG. Inebilizumab ist die erste zugelassene krankheitsmodifizierende Zusatzbehandlung zur Standardtherapie der gMG und eine relevante Therapieoption im

Anwendungsgebiet. – Ich danke Ihnen für Ihre Aufmerksamkeit und freue mich auf Fragen und die Diskussion.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Herr Dr. Kropff, für diese Einführung. – Ich habe vergessen, das wurde mir im Chat mitgeteilt, war ordentlich angemeldet, aber unser Fehler, für die Firma argenx Germany GmbH sind auch zwei Teilnehmerinnen, Frau Blanks und Frau Schoppe anwesend, die sich hier gemeldet haben. Deshalb brauche ich sie nicht mehr abzufragen. Herzlich willkommen. – Der aktuelle Versorgungsstandard wurde angesprochen. Dazu habe ich eine Frage an Herrn Professor Sieb. Können Sie eine Einschätzung zum aktuellen Versorgungsstand für Patientinnen und Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis geben, insbesondere vor dem Hintergrund von neuen Therapieoptionen? Das ist die erste Frage an Herrn Professor Sieb, danach können alle anderen mit ihren Fragen loslegen.

Herr Prof. Dr. Sieb (HELIOS Hansekllinikum Stralsund, Neurologische Klinik): Kurz zu meinem beruflichen Hintergrund: Ich bin seit 2003 Chefarzt der Neurologie in Stralsund. Wir sind eine städtestrukturierte Neurologie und haben einen großen Schwerpunkt im Bereich der Myasthenie. Ich bin Mitautor der Leitlinien der Deutschen Gesellschaft für Neurologie, aber ich bin hier als klinischer Neurologe und nicht als Vertreter von HELIOS.

Es ist so, dass wir über zwei unterschiedliche Erkrankungen sprechen. Das ist Myasthenia gravis mit Antikörpern gegen den Acetylcholinrezeptor und als immunologisch differente Erkrankung die anti-MuSK-positive Myasthenie. Das sind typischerweise Frauen im mittleren Erwachsenenalter, die eine deutliche Schwäche im Bereich der Schlundmuskulatur haben, ein hohes Risiko, auch in die lebensbedrohliche Situation der myasthenen Krise zu rutschen. Diese Patienten behandeln wir seit einer Reihe von Jahren schon off-label mit sehr gutem Erfolg mit dem Anti-CD20-Antikörper Rituximab.

Wir haben diese Patienten mit der Zulassung von Rozanolixizumab teilweise umgestellt. Das ist ein Blocker des neonatalen FC-Rezeptors, wird anders eingesetzt. Die Patienten, es sind meistens Patientinnen, waren unzufrieden. Das ist ein großer Vorteil von Rituximab und von Inebilizumab, dass sie sechsmonatlich behandelt werden. Unter diesem hatten wir einen großen Erfolg.

Ein weiterer Punkt ist, dass man mit den bisherigen konventionellen Immunsuppressiva bei dieser Myasthenieform häufig nicht ausreichend behandeln kann. Ein großes Problem ist nach wie vor die unvernünftig lange und hoch dosierte Behandlung solcher Patienten mit Glucocorticoiden. Deshalb glaube ich, dass aus meiner klinischen Warte das Studiendesign der MINT-Studie sehr gut unser therapeutisches Vorgehen widerspiegelt; denn es ist Ziel der Myasthenietherapie, Patienten möglichst kurzfristig mit Steroiden zu behandeln. Wir haben ein großes Spektrum von teilweise gravierenden Folgewirkungen. Es gibt klare Studien, dass ein Zusammenhang zwischen der Schwere der Erkrankung, dem Einsatz von Steroiden und dem Auftreten von Komplikationen besteht.

Deshalb besteht aus meiner Sicht klar Bedarf für ein drittes therapeutisches Prinzip unter der neuen Therapieoption, neben den Komplementinhibitoren, den Blockern des neonatalen FC-Rezeptors auch eine zugelassene Form durch die B-Zell-Depletion sehr tief in den Krankheitsprozess einzugreifen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Gibt es Fragen aus dem Kreise des Unterausschusses? Das ist nicht der Fall. Ich habe noch eine Frage an Amgen: Gibt es eine Perspektive, dass es möglicherweise zukünftig vergleichende Daten gibt, zum Beispiel zu einem Wirkstoff der zVT? – Frau Buchholz, bitte.

Frau Dr. Buchholz (Amgen): Wir haben die Möglichkeit eines indirekten Vergleichs über die Placebo-Arme der vorliegenden Studien sorgfältig geprüft. Das ist das, was Sie gerade angesprochen haben. Wir sind zu dem Ergebnis gekommen, dass ein methodisch belastbarer indirekter Vergleich, der die Kriterien der Nutzenbewertung adäquat abbildet, auf der Basis der verfügbaren Daten und Design-Elemente aus unserer Sicht nicht durchführbar ist.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Ich schaue noch einmal in die Runde. An der Stelle hat niemand mehr eine Frage. Manchmal geht es schneller, als man denkt. Damit hat der pharmazeutische Unternehmer das letzte Wort. Herr Dr. Kropff, bitte.

Herr Dr. Kropff (Amgen): Das war unerwartet schnell. Vielen Dank für die kurze Diskussion und die wertvollen Fragen. Zum Abschluss sind unsererseits folgende Punkte hervorzuheben: Aus unserer Sicht adressiert Inebilizumab einen weiterhin bestehenden therapeutischen Bedarf und ist die bislang erste zugelassene krankheitsmodifizierende Therapieoption für erwachsene Patientinnen und Patienten mit Acetylcholinrezeptor und MuSK-Autoantikörper-positiver gMG.

Für das Anwendungsgebiet sollte die Studie MINT zur Bewertung des Zusatznutzens herangezogen werden. Die Ergebnisse zeigen erhebliche, teilweise in Richtung eines dramatischen Effekts weisende Vorteile in patientenrelevanten Endpunkten. Es kann hieraus ein Zusatznutzen gegenüber dem Versorgungsstandard abgeleitet werden.

Inebilizumab stellt als erste zugelassene krankheitsmodifizierende Therapie eine relevante Behandlungsoption für Erwachsene mit Acetylcholinrezeptor und MuSK-Autoantikörper-positiver gMG dar. Aufgrund der in der Studie gezeigten deutlichen und klinisch relevanten Effekte kann aus unserer Sicht von einem Vorteil gegenüber dem Versorgungsstandard ausgegangen werden. Das Ausmaß des Zusatznutzens ist aufgrund der verfügbaren Evidenz als nicht quantifizierbar einzustufen. – Vielen Dank an alle Beteiligten für Ihre Zeit, die wertvollen Fragen und die Diskussionsbeiträge bei dieser Anhörung.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank auch von meiner Seite für die Teilnahme und die Beiträge. Mir bleibt nur, Ihnen heute noch einen schönen Nachmittag und eine gute Woche zu wünschen. Herzlichen Dank, dass Sie da waren und bis demnächst. Danke schön.

Schluss der Anhörung: 12:22 Uhr