

Mündliche Anhörung

gemäß 5. Kapitel § 19 Abs. 2 Verfahrensordnung
des Gemeinsamen Bundesausschusses

hier: Wirkstoff Belumosudil (D-1317)

Videokonferenz des Gemeinsamen Bundesausschusses
am 7. September 2026
von 13:30 Uhr bis 14:20 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

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

Frau Zietze

Frau Dr. Kurucz

Herr Dr. Dewerth

Frau Phung

Angemeldeter Teilnehmender, Vorsitzender der **CimPLICATIONS Working Party, EBTM**:

Herr Prof. Dr. Penack

Angemeldeter Teilnehmender für die **Deutsche Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelluläre Therapie (DAG-HSZT)**:

Herr Prof. Dr. Stelljes

Angemeldeter Teilnehmender für die **Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO)**:

Herr Prof. Dr. Wörmann

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Therakos EMEA Ltd.**:

Herr Kloefkorn

Frau Seemann

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 13:30 Uhr

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Einen schönen guten Tag zusammen! Ich begrüße Sie zur Anhörung im Unterausschuss Arzneimittel zum Wirkstoff Belumosudil zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 Kilogramm mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung. Es handelt sich um eine Orphan-drug-Bewertung zur Markteinführung. Wir haben das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers und die Bewertung vom Fachbereich Medizin vorliegen. Wir haben eine Stellungnahme von Sanofi-Aventis vorliegen, dem pharmazeutischen Unternehmer, eine gemeinsame Stellungnahme von der Deutschen Arbeitsgemeinschaft für Hämatopoetische Stammzelltransplantation und Zelluläre Therapie und der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie, des Weiteren Stellungnahmen von Herrn Professor Dr. Penack, von Therakos Deutschland sowie vom Verband forschender Arzneimittelhersteller zu diesem Wirkstoff.

Heute wird wieder ein Wortprotokoll erstellt. Daher werde ich die Anwesenheit feststellen. Von Sanofi-Aventis sind Frau Zietze, Frau Dr. Kurucz, Herr Dr. Dewerth und Frau Phung zugeschaltet – Herr Professor Dr. Penack von EBMT ist nicht eingeloggt –, für die DAG-HSZT Herr Professor Dr. Stelljes, für die DGHO Herr Professor Dr. Wörmann, für Therakos EMEA Ltd. Frau Seemann – Herr Kloefkorn ist nicht zugeschaltet – sowie für den vfa Herr Herden. Ist noch jemand hier, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist nicht der Fall.

Zunächst würde ich Sanofi-Aventis um eine kurze Einführung bitten. Wer von Ihnen macht das?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Das mache ich, Frau Dr. Optendrenk.

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

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Vielen Dank. – Sehr geehrte Frau Dr. Optendrenk, sehr geehrte Damen und Herren, ich bedanke mich für die Möglichkeit, heute zur Nutzenbewertung von Belumosudil zur Behandlung von Patienten mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung Stellung zu nehmen. Kurz zum anwesenden Team: Mit mir im Raum sind Herr Dr. Dewerth als medizinische Leitung für Belumosudil, Frau Phung, verantwortlich für das Nutzendossier, und Frau Dr. Kurucz, verantwortlich für die Immunologie im Bereich Nutzenbewertung. Mein Name ist Henny Zietze. Ich leite den Bereich evidenzbasierte Medizin bei Sanofi.

Nun zu Belumosudil und zur Erkrankung. Die chronische Graft-versus-Host-Erkrankung ist eine schwerwiegende chronische Multiorganerkrankung nach allogener Stammzelltransplantation, die mit einer erheblichen Morbidität, einer deutlichen Einschränkung der Lebensqualität und einer langfristigen Immunsuppression verbunden ist. Die betroffenen Patientinnen und Patienten haben häufig bereits mehrere systemische Therapien erhalten und leiden trotz Behandlung unter persistierenden Organmanifestationen, funktionellen Einschränkungen und den Folgen einer langjährigen Kortikosteroidtherapie. Nahezu die Hälfte der Patienten weist bei Diagnosestellung mehr als drei betroffene Organsysteme auf, und 40 Prozent entwickeln schwere Verläufe. Entsprechend besteht für diese Patientengruppe ein erheblicher medizinischer Bedarf an zugelassenen, wirksamen und dauerhaft verträglichen Therapieoptionen. Belumosudil ist ein First-in-Class-ROCK2-Inhibitor mit einem neuartigen Wirkmechanismus, der gezielt in zentrale pathophysiologische Prozesse der cGvHD eingreift, sowohl in die inflammatorischen als auch die fibrotischen Komponenten der Erkrankung.

Dieser Ansatz unterscheidet sich grundlegend von bisherigen, überwiegend unspezifisch immunsuppressiven Therapien und ermöglicht ein Ansprechen auch in Organsystemen wie Lunge und Haut, die aufgrund fibrotischer Veränderungen bislang oft schwer behandelbar waren. Belumosudil ist für Patientinnen und Patienten vorgesehen, bei denen andere Behandlungsoptionen nur noch einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder bereits ausgeschöpft wurden. Es ist damit eine wichtige neue zugelassene Therapie für diese schwer zu behandelnden Patienten.

Belumosudil ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen, was die besondere Situation dieser kleinen Patientenpopulation und die damit verbundenen Herausforderungen der Generierung einer klinischen Evidenz widerspiegelt.

Die Grundlage der Nutzenbewertung bildet die zulassungsrelevante ROCKstar-Studie. Die Ergebnisse zeigen ein klinisch relevantes und anhaltendes Therapieansprechen in einer stark vorbehandelten Population mit überwiegend moderater bis schwerer Erkrankung. Besonders hervorzuheben ist die hohe Gesamtansprechrate von 74 Prozent, die gemäß den international etablierten NIH-Kriterien erhoben wurde und die klinische Verbesserung der Krankheitsaktivität über verschiedene Organsysteme hinweg abbildet. Die ORR nach NIH-Kriterien ist der international anerkannte Standardendpunkt für klinische Studien bei cGvHD, akzeptiert von FDA und EMA als primärer Wirksamkeitsendpunkt. Die Patientenrelevanz ist dabei unmittelbar gegeben. Bei einer Multiorganerkrankung mit häufig irreversiblen Organschäden stellt auch ein partielles Ansprechen, das heißt eine Verbesserung in mindestens einer Organdomäne ohne Verschlechterung in einer anderen, einen klinisch bedeutsamen Behandlungserfolg dar. Da sich die Krankheitsaktivität bei cGvHD nicht nur in wahrnehmbaren Symptomen, sondern auch in Organveränderungen, etwa der Lungen- oder Leberfunktion, manifestiert, die Patienten selbst oft nicht beurteilen können, ist die ärztliche Erhebung keine Schwäche des Endpunkts, sondern klinisch geboten.

Gleichzeitig zeigen die Daten eine relevante Reduktion der Kortikosteroidbelastung bis hin zum vollständigen Absetzen der Steroidtherapie bei einem Teil der Patientinnen und Patienten. Im Rahmen der Studie konnten mehr als ein Viertel der Patienten ihre Kortikosteroidtherapie vollständig absetzen. Die mediane Dauer der Kortikosteroidfreiheit betrug 8,5 Monate und war bei einem Großteil der Patienten am Studienende noch anhaltend. Das ist ein bedeutsamer patientenrelevanter Nutzen; denn gerade vor dem Hintergrund der erheblichen Langzeittoxizität systemischer Kortikosteroide wie zum Beispiel Osteoporose oder Diabetes mellitus stellt dies einen wichtigen Aspekt des Behandlungserfolgs dar.

Zusammenfassend adressiert Belumosudil einen hohen ungedeckten medizinischen Bedarf in einer schwer erkrankten und therapeutisch stark vorbehandelten Population. Die vorliegenden Daten zeigen ein relevantes und dauerhaftes Therapieansprechen, eine klinisch bedeutsame Reduktion der Krankheitsaktivität sowie die Möglichkeit, die Belastung durch langfristige Kortikosteroidtherapie zu verringern. Dem steht ein insgesamt gut charakterisiertes und beherrschbares Sicherheitsprofil gegenüber.

Wir freuen uns auf die Diskussion und stehen nun für Ihre Fragen gerne zur Verfügung. – Vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Frau Zietze. – Ich begrüße Herrn Professor Penack und Herrn Kloefkorn, die inzwischen zugeschaltet sind.

Ich fange mit einer Frage an die Kliniker an. Es ist ein Arzneimittel mit bedingter Zulassung. Die EMA hat in ihren Zulassungsdokumenten aufgeführt, dass bezüglich der Wirksamkeit Unsicherheiten verbleiben, und dies unter anderem damit begründet, dass alle Patientinnen und Patienten in der Studie zusätzliche Arzneimittel erhalten haben und dazu keine vergleichenden Daten vorlagen. Dennoch sieht die EMA aufgrund des hohen medizinischen Bedarfs im Anwendungsgebiet die vorgelegten Daten zu diesem Zeitpunkt als ausreichend für die bedingte Zulassung an und fordert diesbezüglich zusätzliche Daten aus einer vergleichenden

Studie. Auch haben die Kliniker in ihrer schriftlichen Stellungnahme angeführt, dass für eine Quantifizierung des Zusatznutzens angesichts der enormen Heterogenität des Krankheitsbilds nur größere und randomisierte Studien aussagekräftig wären. Vor diesem Hintergrund stellt sich für uns die Frage, wie Sie den Nutzen von Belumosudil auf der Basis der aktuellen Datenglage einschätzen und welchen Stellenwert es derzeit in der Versorgung sowohl bei Erwachsenen als auch bei Kindern hat. – Herr Wörmann, vielleicht fangen Sie an.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Vielen Dank. – Ich fange mit dem übergeordneten Thema an, kurz zur Geschichte. Allogene Stammzelltransplantation heilt die meisten der Patienten, bei denen sie eingesetzt werden muss, zum Beispiel bei Leukämiepatienten. Das große Hindernis der letzten Jahrzehnte – so muss man sagen – waren die Nebenwirkungen durch die Immunreaktion des fremden Immunsystems gegen den Körper, also die Graft-versus-Host-Erkrankung. Das heißt, wir haben hier ein typisches Beispiel für ein Medikament, das wir lange in dieser Gruppe brauchen, dass wir tolle Therapien haben, aber dass wir schauen müssen, wie wir die Nebenwirkungen so reduzieren, dass für die Patienten dabei noch ein lebenswertes Leben herauskommt. Da passt Belumosudil. Deswegen haben wir uns grundsätzlich so positiv ausgedrückt. Das Problem für Sie ist jetzt, es geht hier, obwohl Onkologie, nicht um Überlebenszeit – die wird dadurch nicht verlängert, zumindest nicht, wo wir es bisher zeigen können –, sondern um die Reduktion der massiven Toxizität. Da kommt ein Punkt, den wir in der Stellungnahme adressiert haben. Die Ansprechraten sind toll, das ist hoch. Trotzdem geht es bei den Patienten noch um mehr. Da geht es ganz wesentlich darum, ob sie wieder Lebensqualität haben, ob sie wieder mobil werden. Eine Besonderheit dieser Graft-versus-Host-Erkrankung ist einmal die Immunreaktion, aber auch, dass die Gelenke, Knochen und so weiter so beeinflusst werden, dass im schlechten Fall die Patienten nicht mehr mobil sind oder sogar im Rollstuhl sitzen. Ich habe zum Beispiel einen solchen Patienten, den wir regelmäßig sehen. Da kann sich Herr Penack gleich noch einklinken.

Wir haben uns relativ klar positioniert, dass hier ein ungedeckter medizinischer Bedarf ist und dass trotz der methodischen Schwäche die bisherigen Erfahrungen mit Belumosudil so positiv sind. Professor Stelljes leitet die Abteilung für Stammzelltransplantation im Uniklinikum Münster, einem der großen in Deutschland, und Professor Penack ist am Campus Virchow sozusagen mein Nachbar, aber er ist der, der die Patienten sieht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Professor Stelljes.

Herr Prof. Dr. Stelljes (DAG-HSZT): Ich würde auch gerne etwas weiter ausholen, erst einmal kurz diskutieren: Wie viele Patienten betrifft das überhaupt? Da gibt es verschiedene Darstellungen in den verschiedenen Dossiers. Wir haben jetzt Gott sei Dank relativ aktuelle Daten, die vielleicht mehr Klarheit bringen. Wir haben etwa 3500 allogene Stammzelltransplantation bei Erwachsenen im Jahr. Es gibt eine kürzlich publizierte, bisher als Abstract verfügbare Studie. Sie nennt sich GRAPPA-Studie. Das war eine randomisierte Studie zur GvHD-Prophylaxe, wofür wir 640 Patienten in Deutschland rekrutiert haben. Schauen wir uns an, wie häufig in dieser Population schwere chronische GvHD vorkam: unter 10 Prozent. Das zeigt, dass wir eine relativ geringe Zahl an Patienten haben, die aber ohne Frage schwer betroffen sind.

Zum Stellenwert von Belumosudil gibt es etwas Neues aus der deutschen Feder. Es gibt einen kürzlich akzeptierten Artikel, der 144 Patienten auswertet, die vor Zulassung von Belumosudil im Rahmen des Compassionate-Use-Programms mit Belumosudil behandelt worden sind. Da sind Patienten, die nicht erst in der zweiten, dritten Linie sind – sie hatten teilweise vier, fünf, sechs Vorthérapien –, also schwer vorbehandelte Patienten eingeschlossen. Selbst diese Patientenkohorte zeigt noch ein Ansprechen von gut 50 Prozent. Dementsprechend ist das in der klinischen Erfahrung unheimlich wichtig.

Der Endpunkt komplette Remission ist bei chronischer GvHD für Patienten teilweise gar nicht möglich. Das sind Patienten, ähnlich wie Patienten mit schweren Autoimmunerkrankungen, bei denen es schon zu entsprechenden Endorganschädigungen, zu Gelenkschädigungen oder was auch immer gekommen ist, die dann letztendlich zur Folge haben, dass wir, selbst wenn

wir einen Stillstand der Erkrankung haben, schon einen Erfolg erreicht haben, weil es uns dann ermöglicht, andere Immunsuppressiva, die entsprechend andere Nebenwirkungen haben, zu sparen oder gar nicht einzusetzen. Eine partielle Remission kann, gerade vor dem Hintergrund der Lebensqualität, für den Patienten relevant sein.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Professor Penack, bitte.

Herr Prof. Dr. Penack (EBMT): Ich stimme Bernd Wörmann und Matthias Stelljes zu. Zusätzlich würde ich gerne noch einen Punkt dazu sagen. Ich habe in den letzten Jahren die Leitlinien der Europäischen Gesellschaft für Stammzelltransplantation bezüglich GvHD koordiniert und leite auf europäischer Ebene die GvHD-Gruppe. Wir werden in unseren neuen Leitlinien das Belumosudil empfehlen, aber nicht breit für jeden Patienten mit chronischer GvHD, sondern für Patienten, die wirklich einen dringenden Medical Need haben. Das sind diejenigen, die auf diese Standard-Second-Line-Therapie mit Ruxolitinib, wozu es gute Studien gibt, auch randomisierte Studien, nicht ansprechen. Man darf nicht vergessen, es gibt auch Patienten, die Ruxolitinib nicht tolerieren, weil sie sogenannte Zytopenien haben, also weil die Blutbildung nicht gut funktioniert, oder weil unkontrollierte Infekte da sind.

Dieser Argumentation ist die EMA gefolgt. Da gab es Diskussionen, an denen ich beteiligt war. Ich glaube, diesen Punkt muss man einfach machen. Es geht nicht darum, Tausende von Patienten mit dem teuren Medikament zu behandeln, sondern es geht wirklich ganz punktuell um einige Patienten, die einen dringenden Medical Need haben. Deswegen war es mir wichtig, mich hier mit einzubringen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Dann frage ich in die Runde, ob es weitere Fragen gibt. – Frau Dörries.

Frau Dörries: Ich hätte drei Fragen an den pharmazeutischen Unternehmer. Starten würde ich gerne mit dem in der Stellungnahme schon adressierten Patientenfluss, den Sie uns ein bisschen aufgeschlüsselt dargelegt haben. Da sind uns noch einige Unklarheiten geblieben. Sie haben adressiert, dass es 13 administrative Wechsel in die Studie 217 gab. Von den 18 Prüfarzentscheidungen haben Sie selbst 12 als klinische Beendigung nach mindestens sechs Monaten deklariert. 6 bleiben weiterhin unklar. Die Frage, die wir uns stellen, ist, ob die 12 klinischen Beendigungen tatsächlich dem klassischen, in Ihrem Protokoll adressierten Belumosudil-Tapering zuzuordnen sind. Was für uns auch noch offen ist, sind die 6 unklaren Prüfarzentscheidungen. Die haben Sie leider nicht aufgeschlüsselt.

Etwas anderes fehlt gänzlich. Sie haben nur die Studienbehandlungsabbrüche aufgeschlüsselt, aber nicht für die Studienabbrecher sozusagen. Das waren allein vom Sponsor 26 Personen, wie ich meine. Dann gab es noch andere Gründe, und das war auch nicht gering. Insgesamt waren es, glaube ich, fast 70 Prozent, die auf diese beiden Kategorien entfielen. Es wäre für uns hilfreich, wenn Sie uns die Daten nachreichen oder vielleicht jetzt schon sagen könnten, wie die aufgeschlüsselt sind.

Was uns noch interessiert, ist, ob die Patienten weiter beobachtet wurden. Wurden zum Beispiel die 12, die ein klinisches Ansprechen hatten, weiter beobachtet, oder sind sie aus der Beobachtung herausgefallen? – Das wären die Fragen zum Patientenfluss.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Wer möchte von Sanofi antworten?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Wir würden mit Frau Phung zu den Abbruchgründen anfangen.

Frau Phung (Sanofi-Aventis): Sehr gerne. – Die ursprüngliche Kategorie der Prüfarzentscheidung umfasste 18 Patienten. Wir haben diese 18 Fälle anhand des Freitextes im Dokumentationsbogen und der Behandlungsdauer genauer eingeordnet. Wie Sie auch gesagt haben, bei 12 der 18 Patienten war die Behandlung bereits länger als sechs Monate erfolgt. Wir können bestätigen, dass das der im Studienprotokoll festgelegten Ausschleichregel entspricht, nach der Belumosudil erst nach einem anhaltenden Ansprechen über mindestens sechs Monate Behandlung beendet werden durfte. Diese lassen sich entsprechend der klinisch erwünschten

Ausschleichtherapie erfolgt zuordnen. Bei den übrigen 6 Patienten reichte die Datenlage leider nicht für eine eindeutige Zuordnung aus, das heißt, wir können sie nicht bewusst werten.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Ich denke, hier wurden die Freitexte schon ausgewählt, wie Frau Phung gesagt hat. Das sind die Informationen, die wir hierzu beibringen konnten. Das sind die Details, die anhand der Zuordnung über die Freitextfelder noch zu erlangen waren.

Was war der zweite Punkt? Entschuldigen Sie, Frau Dörries.

Frau Dörries: Kein Problem, ich habe ja auch viele Fragen gestellt. Es geht um die Studienabbrüche. Sie hatten uns die Aufschlüsselung für die Studienbehandlungsabbrecher geliefert. Das war einmal fast 40 Prozent Studienabbruch durch den Sponsor und 34 Prozent andere Gründe. Da wäre uns tatsächlich gelegen, wie die zuzuordnen sind.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Das heißt, da reicht Ihnen die Tabelle noch nicht, die wir jetzt nachgereicht hatten?

Frau Dörries: Nein. Sie haben uns die Tabelle nur für die Personen nachgereicht, die die Studienbehandlung abgebrochen haben. Aber Studienbehandlungsabbrecher sind nicht gleichzusetzen mit denjenigen, die letztendlich die Studie abbrechen. Da haben wir andere Zahlen, in der Tabelle 7 in der Nutzenbewertung.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Ich glaube, das müssen wir noch mal prüfen, Frau Dörries. Dann würden wir uns entsprechend dazu äußern.

(Frau Dörries: Danke.)

Tabelle 7 ist Ihre Referenz.

(Frau Dörries: Genau.)

Dann hatten Sie noch einen letzten Punkt.

Frau Dörries: Das war die Frage: Wurden die weiter beobachtet, wenn die die Studienbehandlung abgebrochen haben? Wurden beispielsweise für die 12, die ein klinisches Ansprechen hatten, weiter Daten erhoben? Gab es eine Abschlussvisite?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Dazu kann Herr Dewerth etwas sagen.

Herr Dr. Dewerth (Sanofi-Aventis): Tatsächlich wurden auch diese Patienten nach Abschluss der Behandlungsphase systematisch nachverfolgt. Dies galt ausdrücklich für Patienten, die die Behandlung mit Belumosudil vorzeitig beendet haben, als auch für die, die die Studie vorzeitig abgebrochen haben. Gemäß Studienprotokoll wurden die Patienten nach Abschluss des Follow-ups bis zu einem Eintreten eines Failure-Free-Survival-Ereignisses oder eben entsprechend bis zum Studienende in etwa 12-wöchigen Intervallen kontaktiert, um entsprechenden Überlebensstatus, Änderung der cGvHD-Therapie zur erneuten Einleitung der Behandlung der zugrunde liegenden Erkrankung zu erfassen.

Frau Dörries: Prima, vielen Dank. – Darf ich mit meinen weiteren zwei Fragen weitermachen?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja, Frau Dörries, machen Sie weiter.

Frau Dörries: Super, vielen Dank. – Dann hätte ich noch eine Frage – Sie hatten es in Ihrer Einführung schon angesprochen – zum Kortikosteroid-Absetzen. Sie haben uns mit der Stellungnahme zusätzliche Angaben nachgeliefert. Dafür erstmal lieben Dank. Für uns sind die Kennzahlen aber nicht genau das, was wir gerne hätten. Die erste Kennzahl, die Sie uns nachgeliefert haben, haben wir so verstanden, dass das die Zeit vom ersten vollständigen Absetzen bis zur letzten Belumosudil-Dosis war. Die zweite Kennzahl, die Sie auch in Ihrer Einführung genannt hatten, diese 8,5 Monate, sind aus Ihrer SAS-Output-Tabelle als die letzte dokumentierte kortikosteroidfreie Zeit auszulesen. Das heißt, für uns bleibt offen, ob Kortikosteroide weiterhin zwischenzeitlich gegeben werden konnten, wenn ein Patient dies benötigt hatte. Und wie viele Personen waren denn letztendlich vom ersten Absetzen wirklich langfristig

nachhaltig kortikosteroidfrei? Denn die Kennzahl, die Sie uns nachreichen, verstehen wir so, dass das nur die Patienten sind, die bei dem letzten dokumentierten Kortikosteroid-Absetzen tatsächlich kortikosteroidfrei waren. Wir wissen aber nicht, ob die Patienten vorher schon wieder Kortikosteroide genommen hatten und vorher sogar schon kortikosteroidfrei waren. Es ist eine Verständnisfrage, die wir haben. Wie haben wir diese Zahl zu interpretieren?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Phung nickt die ganze Zeit schon. Ich vermute, von Ihnen kommt die Antwort.

Frau Phung (Sanofi-Aventis): Ich kann das gerne übernehmen. – Die Kortikosteroide konnten weiterhin nach Bedarf gegeben werden.

Zu Ihrer Frage des Absetzens. Es haben 85 Prozent der Patienten, die die Kortikosteroide abgesetzt haben, das dauerhaft abgesetzt. Das heißt, nur 15 Prozent mussten noch ein- bzw. zweimal ansetzen. Diese Phase war im Median anhaltend um 8,5 Monate.

Frau Dörries: Bei den 85 Prozent beziehen Sie sich auf den Kaplan-Meier-Schätzer? Den zitieren Sie jetzt, glaube ich.

Frau Phung (Sanofi-Aventis): Das ist der Anteil von den 27 Prozent, die Kortikosteroide abgesetzt haben, die tatsächlich nur einmal absetzen mussten, bei denen ein Wiederansetzen nicht notwendig war.

Frau Dörries: Okay. – Ich weiß jetzt nicht, welche Zahl Sie tatsächlich meinen. Vielleicht können wir das kurz klären.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Frau Phung bezieht sich auf die Stellungnahme.

Frau Phung (Sanofi-Aventis): Ich beziehe mich auf die 21 Patienten, die Kortikosteroide abgesetzt haben. Das sind ja 27 Prozent. Von denen haben 18 Patienten Kortikosteroide nur einmalig abgesetzt.

Frau Dörries: Das sind die 18, okay. Das nehme ich so mit. Gegebenenfalls würden wir nachfragen.

Dann haben wir noch eine zweite Frage zum Kortikosteroid-Absetzen, und zwar geht es uns konkret um den Behandlungsabbruch. In der Nutzenbewertung hatten wir adressiert, dass der ziemlich hoch war. Bei 57 Prozent wurde quasi wegen Behandlungsabbruch zensiert. Wir haben hier eine potenziell informative Zensierung für uns wahrgenommen und wollten Sie diesbezüglich fragen, wie Sie das einschätzen und ob Sie uns diesbezüglich mittels Kaplan-Meier-Kurve die Personen geben können, die zu Monat 6, 12, 18 oder 24 tatsächlich unter Risiko waren. Denn die Angaben fehlen uns. Das haben wir in der Diskussion auch klar adressiert. Die haben Sie uns aber nicht nachgereicht. Könnten Sie uns die noch nachreichen? Das wäre für uns eine bessere Einschätzung. Denn man muss tatsächlich sagen, die Kaplan-Meier-Schätzer, die wir adressiert haben, dieser geschätzte Anteil der Personen mit Kortikosteroid-Absetzen, sind natürlich nur Schätzer. Die sind abhängig von den sogenannten Zensierungen. Der Anteil ist ziemlich hoch. Das heißt, das müssen wir schon einschätzen können.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Frau Dörries, aktuell liegen uns diese Daten nicht vor. Wir würden prüfen, ob wir da noch etwas bekommen können.

(Frau Dörries: Danke.)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Frau Zietze. – Frau Dörries, sind Sie mit Ihren Fragen durch?

(Frau Dörries: Erst einmal ja! Ich melde mich dann wieder!)

– Wunderbar. – Herr Jantschak.

Herr Dr. Jantschak: Ich habe eine Frage an Herrn Professor Stelljes. Sie hatten auf Daten aus dem Compassionate-Use-Programm abgestellt. Können diese Daten die Kritik der sechs Assessoren aus der Divergent Opinion im Zulassungsverfahren mehr oder weniger entkräften?

Herr Prof. Dr. Stelljes (DAG-HSZT): Da ich diese Fragen nicht kenne, kann ich darauf nur halb antworten. Das ist letztendlich eine Datensammlung der wirklichen Welt aus Deutschland. Es waren immerhin 144 Patienten. Das ist einer der größten bisher publizierten Kohorten. Ich meine, das Paper ist jetzt auch online verfügbar, bei BMT. Es ist zumindest vor ein, zwei Wochen angenommen worden. Es ist also in sehr kurzer Zeit komplett verfügbar. Aber wenn Sie konkrete Hinweise haben, was da angemerkt wurde, kann ich vielleicht versuchen, darauf zu antworten.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Jantschak.

Herr Dr. Jantschak: Die sechs Assessoren haben letzten Endes der positiven Zulassungsempfehlung widersprochen, weil sie die Wirksamkeit mehr oder weniger nicht als belegt angesehen haben. Sie haben insbesondere auf eine fehlgeschlagene Studie in einer früheren Linie verwiesen. Wie ich das verstanden habe – vielleicht kann der pharmazeutische Unternehmer dazu noch ausführen –, gab es zunächst auch eine Negative Opinion.

Herr Prof. Dr. Stelljes (DAG-HSZT): Vielleicht kann ich zunächst zu der Nichtwirksamkeit etwas sagen. Wir haben eine relativ gute klinische Praxis. Das Medikament ist europaweit schon länger verfügbar. Wie Herr Penack richtig kommentiert hat, basieren die Erfahrungen der Kliniker einfach darauf, dass wir die Wirksamkeit erleben dürfen. Ich selbst kann mehr als zehn Patienten übersehen, wo wir ein klares Ansprechen haben, was mit Sicherheit jenseits von jedem Placebo liegt. Das sind Interpretationen – so würde ich das zumindest sehen – von Kollegen oder mitbeurteilenden Personen, die einfach ein bisschen zu weit weg von der klinischen Praxis sind und dann fehlgeleitet werden.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Zietze, ergänzend?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Ja. – Ich möchte ergänzen, dass solche Divergent Opinions nicht ungewöhnlich sind, im EPAR auch transparent festgehalten werden. Es gab eine externe Ad-hoc Expert Group, die den Konsens gefasst hat, dass die Punkte, die soeben Herr Jantschak angesprochen hat, adäquat adressiert wurden, dass der Behandlungseffekt so stark ist, dass er nicht durch die eingesetzte Begleitmedikation zu erklären ist, auch die Kortikosteroidreduktion die Wirksamkeit unterstützt und dass die Dauerhaftigkeit des Ansprechens und die Zeit bis zur nächsten Therapie dafür sprechen, sodass letztendlich die deutliche Mehrheit des CHMP die Zulassung empfohlen hat.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Jantschak, ist Ihre Frage beantwortet?

(Herr Dr. Jantschak: Ja!)

Wunderbar. – Frau Wilden.

Frau Wilden: Vielen Dank. – Wir hätten eine Frage an den pharmazeutischen Unternehmer. Uns ist aufgefallen, dass diesen Monat eine Phase-III-Studie beginnt, die EFC 22965. Die soll vergleichende Daten von Belumosudil versus der Best Available Therapy liefern. Können Sie uns vielleicht nähere Informationen zu dieser Studie liefern, die jetzt geplant ist?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Zietze?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Das macht Frau Dr. Kurucz.

Frau Dr. Kurucz (Sanofi-Aventis): Es ist genauso, wie Sie sagen: Die Studie läuft jetzt an. Es ist das Ergebnis einer Diskussion und einer Entscheidungsfindung mit der EMA im Zuge einer CHMP-Reexamination, nachdem wir über die Erstlinienstudie gesprochen haben. Jetzt sind wir aber in einem späteren Therapiesetting, dritte Linie und mehr. Es wurde mit dem CHMP und der EMA gemeinsam ein neues, an den aktuellen Behandlungsstandard angepasstes Phase-III-Studienprogramm entwickelt und wird jetzt für die Spätlinientherapie umgesetzt.

Wir erwarten den Studienbericht so etwa erstes Halbjahr 2030. – Haben Sie noch weitere Fragen?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Wilden.

Frau Wilden: Dazu erst einmal nicht, danke. – Erste Studiendaten 2030, haben Sie gesagt. Das nehme ich so mit.

Dann hätten wir noch eine weitere Frage an die Kliniker:innen, wenn ich direkt im Anschluss fragen darf.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja.

Frau Wilden: Vielen Dank. – Die Frage bezieht sich auf den Stellenwert von Belumosudil. Vielleicht können Sie genauer darauf eingehen, inwieweit sich das Belumosudil im deutschen Klinikalltag durchgesetzt hat, insbesondere vor dem Hintergrund, dass wir das bereits zugelassene Ruxolitinib haben und einen Off-Label-Einsatz von Ibrutinib haben. In den USA gibt es noch das zugelassene Axatilimab. Vielleicht können Sie das zu dem Belumosudil einordnen. – Danke.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Penack.

Herr Prof. Dr. Penack (EBMT): Ich denke, es ist so, dass es ein Compassionate Use Early Access Programm von einer Firma gab. Matthias Stelljes hat das gerade schon erwähnt. Es ist im Prinzip zur Publikation angenommen. Es waren auf jeden Fall über 100 Patienten. Sanofi kennt die Daten sicherlich genauer. Es ist sicherlich so, dass es in anderen Ländern schon viel mehr Erfahrung gibt, in China, Japan, UK. Aber auch andere europäische Länder veröffentlichen jetzt die Daten von dem Programm. Ich denke, es ist genau so, wie wir es von der EBMT in unseren neuen Leitlinien empfehlen werden. Insbesondere für Patienten, die auf Ruxolitinib einen Progress haben, auf Ruxolitinib eine Unverträglichkeit haben oder primär gar nicht für Ruxolitinib in Frage kommen, ist das ein total wertvolles Medikament. Ich denke, wir würden im deutschen Klinikalltag jetzt nicht so weit gehen, dass wir, wenn ein Patient für Ruxolitinib in Frage kommen würde, mit Belumosudil behandeln würden. Es ist ganz klar, dass die Second-Line-Therapie der chronischen GvHD nach Steroiden eben Ruxolitinib ist. Dadurch passiert das, was ich vorhin schon gesagt habe: Die Patientenanzahl reduziert sich deutlich. Aber die Patienten, die auf Ruxolitinib nicht ansprechen, haben wirklich ein sehr schlechtes Outcome. Ich denke, die Daten sind schon gut genug, dass man sagen kann: Da ist das Medikament das Richtige.

Zu den anderen Medikamenten. Ibrutinib – so muss man sagen – war ein Schnellschuss von der FDA. Viele von uns haben Ibrutinib probiert. Die Verträglichkeit im Allograft-Setting ist relativ schlecht und spielt bei der Behandlung der chronischen GvHD keine Rolle mehr. Das ist zwar von der FDA zugelassen, aber extrem wenige Zentren benutzen Ibrutinib noch. Es spielt im Feld keine Rolle. Zu Axatilimab haben wir in Deutschland keinen Zugang. Nur die Zentren, die an Studien teilgenommen haben, können Axatilimab einsetzen. Das wird sich in Zukunft hoffentlich ändern. Im Augenblick gibt es aber im Real World Setting keine Möglichkeit.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Wörmann, Sie wollen bestimmt ergänzen.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Nur eine ganz kurze Ergänzung. – Eigentlich wissen Sie das selbst, Frau Wilden. Wenn es zugelassene Präparate gibt, wozu jetzt auch dieses Präparat gehört, dann kriegen wir ein Off-Label-Use ganz schwer durch. Es ist auch gut begründbar, so vorzugehen, was die Sicherheit für Verordnungen angeht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Wilden, sind Ihre Fragen beantwortet?

(Frau Wilden: Ja, alles beantwortet, vielen lieben Dank!)

– Wunderbar. – Frau Holtkamp, bitte.

Frau Dr. Holtkamp: Vielen Dank. – Auch ich habe eine Frage zu der neuen Studie, die aufgelegt wurde. Wird da auch die Lebensqualität erhoben? Denn es wurde jetzt viel mit dem Aspekt Lebensqualität argumentiert. Aber bedauerlicherweise gibt es in der einarmigen Studie keine Daten zur Lebensqualität. Eventuell können die Experten dazu ausführen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Möchte sich zunächst der pharmazeutische Unternehmer zu der Frage der Studie äußern?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Frau Phung würde das verifizieren. – Aus unserer Sicht ist es so, dass in dieser Studie auch die Lebensqualität erhoben wird. Wir würden aber gerne noch die Endpunkte prüfen. EQ-5D wird erhoben, SF-36 auch.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Zietze bestätigt. – Frau Holtkamp, ist Ihre Frage damit beantwortet?

Frau Dr. Holtkamp: Ja, danke. Allerdings habe ich auch die Experten angesprochen, ob sie zur Lebensqualität sozusagen empirisch ausführen können. Daten haben wir leider nicht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Wörmann, bitte.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ich kann das ganz übergeordnet sagen, weil wir die Stellungnahme auch so formuliert haben. Es ist schon schwierig in einer solchen Entität, wo es im Wesentlichen um Reduktion von Morbidität geht, wenn das nur auf Ansprechrare fixiert ist. Die Daten haben Sie eben schon gehört, wesentlich auch den Punkt, dass in dieser speziellen Situation das Ziel leider nicht eine komplette Remission sein kann, sondern es geht um Linderung von Leiden und im Fall der Glukokortikoide darum, dass die Patienten weniger Kortisonpräparate nehmen müssen. Dann ist es für uns schon viel einfacher, wenn wir ein etwas ausführlicheres Lebensqualitätsportfolio haben. Das fehlte jetzt eben. Das ändert nichts daran, dass wir das so erleben, wie die Kollegen aus der Klinik es beschrieben haben. Aber man hätte es natürlich gerne schwarz auf weiß.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Stelljes.

Herr Prof. Dr. Stelljes (DAG-HSZT): Die Frage der Lebensqualität ist sehr bedeutsam. Die Fragebögen, die in den üblichen Studien bisher verwendet wurden, sind nur bedingt geeignet, das vernünftig zu messen. Es ist teilweise die praktische Erfahrung. Ich kann mich an Patienten erinnern, wo wir aus ärztlicher Sicht nicht unbedingt ein Ansprechen objektivieren konnten, die Patienten aber von einer deutlich besseren Lebensqualität, was auch immer das dann in diesem Moment geheißen hat, berichteten. Es gibt schon deutliche Hinweise, dass unsere Patienten sehr stark davon profitieren. Dazu muss man überlegen: Welche Alternativen habe ich? Wenn ich als Alternative ein klassisches immunsuppressives Medikament in der nächsten Eskalation nehme, habe ich dann wieder die gesteigerte Infekthäufigkeit, was ohne Frage lebensbedrohlich sein kann, aber auf jeden Fall zu erneuter Hospitalisierung führen kann, beispielsweise in den Wintermonaten bei Lungenentzündung, oder auch zu anderen Komplikationen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Holtkamp, so weit zufrieden?

(Frau Dr. Holtkamp: Ja, vielen Dank!)

– Wunderbar. – Frau Dörries hatte noch eine Frage.

Frau Dörries: Ich würde gerne kurz zum Absetzen von Kortikosteroid kommen. Wir haben die Daten geprüft. Sie hatten von 18 Patienten gesprochen beziehungsweise von 85 Prozent. In der Stellungnahme finden die sich nicht. Ich weiß nicht, woher Sie diese Daten haben. Aber es wäre ganz gut, wenn Sie uns diese Daten nachreichen können. Denn uns interessiert die Frage, wenn ich als Patient die Kortikosteroide absetze, wie lang war ich, ohne wieder mit den Kortikosteroiden neu begonnen zu haben, kortikosteroidfrei? Was uns auch interessiert – das hatten wir in der Nutzenbewertung ebenfalls adressiert –: Welche Ereignisdefinition legen Sie hier an? Sie schreiben einmal, dass wir bei 0 Milligramm mit Kortikosteroiden über ein

Zeitraum von 28 Tagen oder mehr sind. An einer anderen Stelle sagen Sie: 0 Milligramm pro Zyklus. Auf welches Ereignis beziehen wir uns, und wie viele Patienten waren tatsächlich seit dem ersten Absetzen durchgehend kortikosteroidfrei?

Vielleicht könnten Sie noch ergänzen: Wie viele Patienten haben erneut begonnen, und wie viele waren tatsächlich unter Risiko? Das kann man ganz gut mit der Kaplan-Meier-Kurve darstellen. Es wäre super, wenn Sie uns das nachreichen würden.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ich schaue zu Sanofi.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Frau Dörries, das nehmen wir mit.

(Frau Dörries: Danke schön, super!)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Dicheva-Radev.

Frau Dr. Dicheva-Radev: Unsere Fragen betreffen auch das Absetzen der Kortikosteroide. Sie gehen allerdings an die Kliniker. Wir sind uns bewusst, dass das eher Schätzungen sind. Wie ist das in der Versorgung? Wird die Kortikosteroidfreiheit auch ohne Belumosudil genauso gut wie unter Belumosudil erreicht? Wie sind die 8,5 Monate einzuschätzen, einzuordnen, wie relevant ist das für die Patienten? Wie ist das im Kontext dieser 28 Tage, die in der Studie als Mindestintervall für das Absetzen vorgegeben waren, nach den Erfahrungen der Kliniker? Ist es tatsächlich so, dass es in der Versorgung ungefähr das widerspiegelt? Sind es die 28 Tage? Ist es eine längere Freiheit? Vielleicht können die Kliniker dazu ausführen. Das hat uns beim Lesen der Nutzungsbewertung etwas umgetrieben.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Stelljes.

Herr Prof. Dr. Stelljes (DAG-HSZT): Kortikosteroidfreiheit ist natürlich von großem Interesse. Aber da muss man auch überlegen, dass nicht immer ein und derselbe Arzt die Therapie in der klinischen Wirklichkeit durchführt. Es kann ganz schnell sein, dass ein Kollege sagt: Der Patient hat jetzt doch eher pulmonale Probleme; ich setze kurzfristig das Cortison hoch, ohne dass es einen Grund gibt. Dann kommt ein anderer wichtiger Punkt dazu. Das sind Patienten, die sich mittlerweile in der dritten Linie befinden. Das heißt, die haben über Monate schon eine Kortikosteroidtherapie gehabt. Wir wissen alle, dass unter die Cushingschwelle zu kommen dann relativ schwierig ist. Sprich: Das Tapering von Kortikosteroiden läuft über Monate. Das kann man teilweise gar nicht in so einer Studie bis auf Freiheit erreichen, sondern nur eine Reduktion, was aber ohne Frage auch ein großer Erfolg wäre.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Dicheva-Radev, ist Ihre Frage beantwortet?

Frau Dr. Dicheva-Radev: Ich würde vielleicht nachhaken. Es geht uns um die Einordnung von diesen 8,5 Monaten unter Belumosudil. Wie ist das im Vergleich zu anderen Therapieoptionen? Ist es eine Freiheit, die auch unter anderen Therapieoptionen erreicht wird? Oder ist es eher etwas, was Sie bis jetzt so in der Versorgung ohne Belumosudil nicht erreicht haben?

Herr Prof. Dr. Stelljes (DAG-HSZT): Ich kann kurz ergänzen. Was haben wir als Alternativtherapie? In der Stellungnahme sind die verschiedenen Möglichkeiten genannt. Nach meiner Erfahrung ist es so – die häufigste ist ja die extrakorporale Photopherese als Verfahren, nicht als Medikament –, dass die Patienten darunter selten steroidfrei bleiben.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Herr Stelljes. – Herr Penack zum Ergänzen, bitte.

Herr Prof. Dr. Penack (EBMT): Bezüglich der Steroide möchte ich ein bisschen weiter ausholen. Es ist eine chronische Erkrankung. Wir reden über schwerkranke Patienten, die über Jahre Medikamente brauchen. Es ist leider immer noch Standard, die Steroide einzusetzen. Steroide sind für eine kurze Therapie gute Medikamente. Aber eine Einnahme über Jahre – das wissen auch die meisten hier im Call – ist ganz problematisch. Wir versuchen im Feld davon herunterzukommen. Ganz wichtig dabei ist, was wir eben angesprochen haben, dass wir Quality of

Life erfassen. Aber da waren wir bisher nicht so ganz gut im Feld. Denn vielen Menschen geht es einfach schlecht, die Steroide nehmen. Wir haben kardiovaskuläre Komplikationen, wie wir gehört haben. Wir haben osteogene Komplikationen. Das ist ein Riesenproblem. Ich glaube, wir können Ihnen jetzt direkt auf diese Frage mit den 8,5 Monaten nicht genau antworten, weil die Erfahrungen begrenzt sind. Aber ganz wichtig ist, dass wir von den Steroiden wegkommen. Wir brauchen mehr Medikamente für schwerkranke Patienten mit chronischer GvHD. Es war ein Riesenschritt, dass wir das Ruxolitinib hatten. Jetzt ist die Frage, was machen wir mit den Patienten, die auf das Ruxolitinib nicht ansprechen? Da gibt es diese Vergleichstherapien gar nicht so gut. Wir haben davon gesprochen. Es gibt eben die ECP. Die führt sicher nicht in einem hohen Stellensatz zu einer Steroidfreiheit. Da gebe ich Matthias Stelljes absolut recht. Ansonsten haben wir überhaupt keine aktiven Therapien. Wir wursteln uns mit alten Immunsuppressiva durch, die auch toxisch sind. Von daher bin ich relativ überzeugt, dass das genau für die Patienten bezüglich der Steroidreduktion etwas Gutes tut. Ich zweifle aber daran, dass man Ihnen hier wirklich gute, harte Daten liefern kann.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Dicheva-Radev, das war so weit okay?

(Frau Dicheva-Radev: Vielen Dank!)

Gibt es noch weitere Fragen? – Herr Jantschak.

Herr Dr. Jantschak: Ich habe noch eine Frage an den pharmazeutischen Unternehmer. Es kann sein, dass ich das vorhin nicht mitgeschnitten habe. Rekrutiert die Bestätigungsstudie, die RCT, die Auflage der EMA war, schon?

Herr Dr. Dewerth (Sanofi-Aventis): Die Phase-III-Studie rekrutiert derzeit noch nicht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Herr Dewerth. – Eindeutiger kann man es nicht beantworten?

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Genau. – Sie wird in Kürze beginnen, aber sie rekrutiert aktuell noch nicht.

(Herr Dr. Jantschak: Gut, danke!)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Dann gucke ich in die Runde, ob es noch weitere Fragen gibt. – Das scheint nicht mehr der Fall zu sein. Dann dafür schon mal herzlichen Dank. – Bei uns hat immer der pharmazeutische Unternehmer das letzte Wort, zumindest in der Anhörung. Frau Zietze.

Frau Zietze (Sanofi-Aventis): Ganz herzlichen Dank, Frau Dr. Optendrenk. – Sehr geehrte Damen und Herren, vielen Dank für die konstruktive und sehr interessierte Diskussion. Wir haben über diese schwer zu therapierende Patientenpopulation gesprochen, die mehrfach vorbehandelt ist, darüber, wie hoch der medizinische Bedarf an neuen, zugelassenen Therapien ist. Belumosudil adressiert genau diesen Bedarf. Die Versorgungsrealität, über die wir auch gesprochen haben, zeigt, dass in dieser Therapiesituation neben ECP häufig auf Off-Label-Optionen zurückgegriffen werden muss und dass es deswegen so wichtig ist, dass wir das Belumosudil als neu zugelassene Behandlungsoption für diese Versorgungslücke haben. Die Gesamtansprechrate – das hatte ich eingangs gesagt – nach NIH-Kriterien: Bei dieser komplexen Multiorganerkrankung mit auch schon irreversiblen Organschäden ist das partielle Ansprechen unmittelbar patientenrelevant. Das ist ein klinisch bedeutsamer Behandlungserfolg. Genauso haben wir viel über die Kortikosteroidfreiheit diskutiert, die in diesem Patientenkollektiv auch von sehr großem Interesse ist. Insofern danken wir Ihnen nochmals für den konstruktiven Austausch.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Das allerletzte Wort habe ich. Ich darf mich bei ihnen für den Austausch, für die Stellungnahmen, für die guten Nachfragen und Antworten sehr herzlich bedanken und darf ihnen einen schönen Tag wünschen. Bis zum nächsten Mal! Tschüs!

Die Anhörung ist geschlossen.

Schluss der Anhörung: 14:20 Uhr