

Mündliche Anhörung

gemäß § 35 a Abs. 3 Satz 2 SGB V des Gemeinsamen Bundes-
ausschusses

hier: Wirkstoff Olipudase alfa (D-1316)

Videokonferenz des Gemeinsamen Bundesausschusses

am 7. September 2026

von 12:00 Uhr bis 12:24 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

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

Frau Dr. Lampert

Herr Dr. Kienitz

Frau Dr. Kube

Frau Dr. Frick

Angemeldeter Teilnehmender für das **Universitätsklinikum Münster (UKM), Klinik für Kinder- und Jugendmedizin – Allgemeine Pädiatrie**:

Herr PD Dr. Park

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 12:00 Uhr

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Einen schönen guten Tag, herzlich willkommen bei unserer Anhörung im Unterausschuss Arzneimittel, heute zum Wirkstoff Olipudase alfa zur Behandlung von Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase außerhalb des zentralen Nervensystems. Es handelt sich um eine reguläre Nutzenbewertung bei Überschreitung der 30-Millionen-Euro-Grenze für Orphan Drugs.

Wir haben vorliegen das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers und auch die Nutzenbewertung des IQWiG vom 30. Juli 2026, und wir haben Stellungnahmen bekommen, von Sanofi-Aventis natürlich, von Privatdozent Dr. Julien Park und vom vfa.

Wie Sie wissen, erstellen wir hier immer ein Wortprotokoll, das den anschließenden Beratungen zugrunde liegt, und deshalb fragen wir immer die Teilnehmer ab, die anwesend sind. Das ist heute keine ganz lange Liste. Ich würde Sie trotzdem aufrufen, damit Sie kurz bestätigen, dass Sie da sind.

Das sind für Sanofi-Aventis Frau Dr. Lampert, Herr Dr. Kienitz, Frau Dr. Kube und Frau Dr. Frick. Außerdem sind für die Uniklinik Münster Herr Dr. Park und vom vfa Herr Herden anwesend. – Herzlichen Dank, dass Sie alle da sind.

Ich schlage vor, wir starten mit der Einführung durch den pharmazeutischen Unternehmer. Wer möchte das von Sanofi übernehmen? – Bitte, Herr Dr. Kienitz, dann starten Sie.

Herr Dr. Kienitz (Sanofi): Sehr geehrte Frau Dr. Optendrenk, sehr geehrte Damen und Herren, zunächst vielen Dank für die einleitenden Worte und die Gelegenheit, heute die Nutzenbewertung von Olipudase alfa zur Behandlung von Manifestationen eines Mangels an saurer Sphingomyelinase, kurz ASMD, außerhalb des zentralen Nervensystems bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen mit Typ A/B oder Typ B mit Ihnen erörtern und auf offene Fragen eingehen zu können.

Vor meinen weiteren Ausführungen möchte ich Ihnen unsere heutige Delegation vorstellen. Frau Dr. Anette Lampert zeichnet hauptverantwortlich für die Erstellung des Nutzendossiers, das unserem heutigen Austausch zugrunde liegt. Der Bereich Medizin ist durch Frau Dr. Melissa Frick vertreten, und Frau Dr. Petra Kube ist zuständig für den Bereich Value und Access. Mein Name ist Dr. Carsten Kienitz, und ich bin bei Sanofi Teamleiter im Bereich Nutzenbewertung mit den Schwerpunkten Onkologie und seltene Erkrankungen.

Im Folgenden möchte ich ausführen, warum wir einen Hinweis auf einen erheblichen Zusatznutzen für Olipudase alfa weiterhin für gerechtfertigt halten, und auf den Stellenwert eingehen, den es für die Behandlung der ASMD seit seiner Markteinführung 2022 erlangt hat.

ASMD ist eine äußerst seltene, genetisch bedingte lysosomale Speicherkrankheit. Es handelt sich dabei um einen Aktivitätsmangel des Enzyms ASM, der sauren Sphingomyelinase. Dieser Mangel manifestiert sich in der Akkumulation von Sphingomyelin insbesondere in Zellen von Milz, Leber und Lunge, wodurch speziell diese Organe geschädigt werden. Dies führt häufig zu erheblichen Funktionseinschränkungen und nachfolgend zu einer Vielzahl schwerer Symptome und zum Teil sogar lebensbedrohlicher Komplikationen.

Vor diesem Hintergrund ist unmittelbar einsichtig, dass pathologische Milz- und Lebervergrößerungen von teilweise dramatischem Ausmaß sowie Atembeschwerden, die ebenfalls gravierende Ausprägung annehmen können, für das Krankheitsbild ASMD als charakteristisch und krankheitsdefinierend anzusehen sind. So weisen die betroffenen Patienten auf-

grund der Splenomegalie oftmals ein vergrößertes Abdomen auf, das bereits äußerlich deutlich sichtbar ist. Dazu kommen Symptome wie gastrointestinale Beschwerden, starke Schmerzen und ein dauerhaft erhöhtes Risiko für eine Milzruptur, die eine durchaus lebensbedrohliche Komplikation darstellt.

Auch das Lungengewebe wird durch die Akkumulation des Sphingomyelins zunehmend geschädigt mit der Folge, dass die Lungenfunktion im Krankheitsverlauf stetig abnimmt. Dies führt bei vielen Patienten dazu, dass sie auf unterstützende Sauerstoffgabe angewiesen sind. Außerdem stellen Lebererkrankungen und Lungenerkrankungen die häufigsten Todesursachen bei ASMD-Patienten dar. Des Weiteren gehen die geschilderten Symptome auch mit einer erheblichen Einschränkung der Lebensqualität einher.

Abschließend ist festzuhalten, dass die beschriebenen pathologischen Manifestationen, also Vergrößerung von Milz und Leber sowie Einschränkung der Lungenfunktion, aufgrund ihres krankheitsdefinierenden Charakters auch in der Diagnostik und der Verlaufskontrolle der ASMD entscheidende Parameter zur Bestimmung der Krankheitsschwere darstellen.

Vor der Einführung von Olipudase alfa gab es keine wirksame ursächliche Therapie für ASMD, sodass die Patienten lediglich rein symptomatisch behandelt werden konnten. Während eine symptomatische Therapie jedoch das Voranschreiten der Erkrankung weder zu verhindern noch zu verlangsamen vermag, wird mit der Enzymersatztherapie Olipudase alfa die pathophysiologische Kaskade der Sphingomyelin-Akkumulation unterbrochen und dadurch die Funktion der beeinträchtigten Organe wieder signifikant verbessert.

Inzwischen ist Olipudase alfa seit mehreren Jahren kommerziell verfügbar und stellt nach wie vor die einzige kausale Therapieoption zur Behandlung der ASMD dar. Die in dieser Zeit gewonnenen klinischen Erfahrungen aus der Praxis bestätigen eindrücklich die in den Zulassungsstudien gezeigte Wirksamkeit und das günstige Sicherheitsprofil. Darüber hinaus liegen nunmehr Langzeitdaten über fünf Jahre aus der Extensionsphase der Studie ASCEND vor, die ebenfalls die anhaltende und nachhaltige Verbesserung der Organfunktion unter Olipudase alfa belegen.

Um die Wirksamkeit und Sicherheit von Olipudase alfa bei ASMD nachzuweisen, wurden die klinischen Studien ASCEND und ASCEND-Peds durchgeführt. Die Ergebnisse der Erwachsenenstudie ASCEND, einer doppelblinden, randomisierten, kontrollierten Phase-III-Studie, sind eindrucksvoll: 94,4 Prozent der mit Olipudase alfa behandelten Patienten erreichten eine Reduktion des Milzvolumens um mindestens 30 Prozent gegenüber Baseline, während kein einziger Patient im Placeboarm eine entsprechende Reduktion zeigte. Dieser absolute Unterschied von 94,4 Prozent gegenüber 0 Prozent stellt aus unserer Sicht einen eindeutigen Beleg für einen erheblichen Zusatznutzen dar.

Auch die Langzeitdaten der ASCEND-Studie belegen eine persistierende Milzvolumenreduktion gegenüber Baseline von minus 45,8 Prozent zu Woche 80 bis minus 62,1 Prozent zu Woche 260, was die Nachhaltigkeit des therapeutischen Effekts eindrucksvoll unterstreicht. Auch für die DL_{CO} zeigte sich ein statistisch signifikanter Vorteil: 27,8 Prozent der Patienten unter Olipudase alfa erreichten eine Verbesserung um mindestens 15 Prozent gegenüber 0 Prozent im Kontrollarm. Darüber hinaus war auch die Reduktion des Lebervolumens mit einem Hedges'g von minus 2,5 statistisch signifikant und klinisch relevant.

Die offene einarmige ASCEND-Peds-Studie, die bei Kindern und Jugendlichen durchgeführt wurde, zeigt zahlreiche Effekte in vergleichbarer Größenordnung wie die ASCEND-Studie. So konnte beispielsweise bei 95 Prozent der Patienten bis Woche 52 eine Reduktion des Milzvolumens um 30 Prozent erreicht werden, wobei die mediane Volumenreduktion bis zu 59,2 Prozent bei der Alterskohorte < 6 Jahre betrug. Im Anschluss an ASCEND-Peds wurden alle pädiatrischen Patienten in die offene Langzeitstudie LTS13632 überführt, in der eine Behandlungsdauer von bis zu neun Jahren dokumentiert ist. Die Ergebnisse von LTS13632

demonstrieren auch für diese junge Patientengruppe die nachhaltige Wirksamkeit von Olipudase alfa.

Das IQWiG hat in seiner aktuellen Dossierbewertung die Patientenrelevanz des Endpunktes „Verringerung des Milzvolumens“ und der damit einhergehenden Reduktion schwerer Folgekomplikationen anerkannt. Dies ist ein wichtiger Schritt, den wir ausdrücklich begrüßen. Die erhebliche Reduktion des Milzvolumens, wie sie sich in den Ergebnissen der ASCEND-Studie gegenüber Best Supportive Care und darüber hinaus in der nachfolgenden Langzeitbeobachtung zeigt, ergibt aus Sicht des IQWiG für Erwachsene einen Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.

Darüber hinaus folgt das IQWiG auf Basis eigener Recherchen auch unserer Annahme, dass ohne kausale Behandlung, also nur unter Behandlung mit Best Supportive Care, keine Besserung oder spontane Remission der Splenomegalie zu erwarten ist. Vor diesem Hintergrund werden auch die diesbezüglichen Ergebnisse der einarmigen ASCEND-Peds-Studie zur Ableitung eines ebenfalls nicht quantifizierbaren Zusatznutzens für Kinder und Jugendliche herangezogen.

Sanofi teilt die Einschätzung des IQWiG, dass ein Zusatznutzen von Olipudase alfa vorliegt. Wir sind jedoch der Überzeugung, dass das Ausmaß des Zusatznutzens über einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen hinausgeht und ein Hinweis auf einen erheblichen Zusatznutzen gerechtfertigt ist; denn die Reduktion des Milzvolumens in einer relevanten Größenordnung bei nahezu allen Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern stellt eine erhebliche Reduktion der Krankheitslast dar, verbunden mit den Möglichkeiten einer wieder aktiveren Teilhabe der Patienten an alltäglichen Aktivitäten.

Ergänzend kommt die signifikante Verbesserung der DL_{CO} sowie die erhebliche Reduktion des Lebert Volumens hinzu, die ebenfalls schwerwiegende krankheitsdefinierende Manifestationen der ASMD darstellen. Diese Einschätzung wird unserer Ansicht nach auch durch die inzwischen vorliegenden mehrjährigen Erfahrungen aus der klinischen Praxis bestätigt.

Damit bedanke ich mich für Ihre Aufmerksamkeit und stehe jetzt mit meinem Team für Ihre Fragen zur Verfügung.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Ganz herzlichen Dank, Herr Kienitz. – Wir haben jetzt sehr viel über die Symptomatik gehört. Ich würde gerne Herrn Dr. Park einmal zu Wort kommen lassen, um vielleicht nochmals einzuordnen, wie die Symptomatik ist und warum das in diesen Fällen besonders schwierig oder herausfordernd ist.

Ich würde das aber gerne direkt mit einer Frage von Frau Teupen verbinden, die dann vielleicht noch dazukommt. – Frau Teupen, bitte fangen Sie an.

Frau Teupen: Ja, ich glaube, es ginge in die ähnliche Richtung. – Für uns war wichtig, aus Expertensicht die Relevanz des Milzvolumens und die Reduktion noch einmal zu erläutern. Vielleicht können Sie dann gleich noch etwas zum Z-Score und dazu sagen, wie das Größenwachstum bei Kindern und Jugendlichen ist, auch wenn wir hierzu keine Daten aus natürlichen Verlaufskontrollen haben. Das wäre meine Frage. – Vielen Dank, Frau Dr. Optendrenk.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Herzlichen Dank. – Dann Herr Dr. Park, bitte.

Herr Dr. Park (UKM): Ja, herzlichen Dank. – Um noch einmal auf das Milzvolumen zu sprechen zu kommen: Die Splenomegalie, also die Vergrößerung der Milz, ist ganz häufig der Behandlungsanlass für diese Kinder, um sich überhaupt in die Diagnostik zu begeben, neben Blutbildveränderungen, die dann sekundär auffallen. Das heißt, das ist häufig das, was überhaupt dazu führt, dass es einen Kontakt mit dem Gesundheitswesen gibt.

Die Milzvergrößerung ist bei diesen Kindern sehr häufig dahingehend sehr alltagsrelevant, als bei einer so massiven Milzvergrößerung, wie sie bei der ASMD auftritt, die Alltagsaktivitäten eingeschränkt werden müssen. Ich kann hier aus meiner eigenen Praxis berichten, dass

wir Kinder hatten, die beispielsweise den Schulweg nicht mehr alleine bewältigen konnten, weil sie eben mit einer so massiven Milzvergrößerung ein relevantes Risiko für eine Milzruptur hatten und deswegen letztendlich den Schulbus nicht mehr nehmen konnten. Die Reduktion des Milzvolumens in einem solchen Maße – das ist ja eben zur Sprache gekommen, um bis maximal 60 Prozent sozusagen –, wie sie da beobachtet wurde, kann einen deutlichen Unterschied in der Lebenswirklichkeit dieser Kinder darstellen, und sie tut dies auch regelmäßig.

Hinzu kommt noch ein anderer Aspekt, die Ernährung: Es kann so sein, dass die Milz derart vergrößert ist, dass die Magen-Darm-Passage beeinträchtigt ist und eine Ernährung auf natürlichem Wege sozusagen verhindert, sodass dann spezielle Nahrung oder Sondennahrung erforderlich ist, und dass eben eine solche Reduktion dazu führt, dass solche Maßnahmen reduziert oder vielleicht sogar unterlassen werden können.

Frau Teupen, Sie hatten nach den Z-Scores beziehungsweise nach der natürlichen Entwicklung gefragt. Grundsätzlich ist es ja so, dass diese Z-Scores eine Möglichkeit darstellen, bezogen auf die Körpergröße und sozusagen das erwartete Wachstum die Milzgröße zu interpretieren, also losgelöst von der tatsächlichen Messgröße; denn eine Milz von 11 cm Länge bei einem Erwachsenen ist normal groß, wohingegen sie bei einem Säugling bei einem solchen Wert natürlich massiv vergrößert wäre. Somit hat man mit den Z-Scores eben eine alters- und größenbezogene Möglichkeit, die Milzvergrößerung zu beurteilen. – Beantwortet das Ihre Frage, oder haben Sie auf etwas anderes abgehoben?

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Frau Teupen.

Frau Teupen: Genau, es ging darum, den Effekt vielleicht noch einmal kurz darzustellen, weil ja nun der Erstbeschluss da war, also darum, wie groß der Effekt auf das Größen- und Längenwachstum dann quasi spürbar ist für uns.

Herr Dr. Park (UKM): Da bin ich jetzt nicht ganz sicher, dass ich das richtig verstanden habe. Meinen Sie das bezogen auf die Milz, oder sprechen Sie jetzt vom Größen- und Längenwachstum der Patientinnen und Patienten?

Frau Teupen: Von dem der Patienten natürlich, Körpergröße und Länge – das ist ja der Z-Score –, genau.

Herr Dr. Park (UKM): Ja, ach so, verstehe. – Nein, tut mir leid. Das war ein Missverständnis, denn man kann im Prinzip für jedes Organ einen Z-Score bilden.

(Frau Teupen: Ach so!)

– Genau; es ist so, dass die Behandlung letztendlich auch zu einem verbesserten Längen- und Größenwachstum bei diesen Patientinnen und Patienten führt, und der Z-Score ist eine Möglichkeit, um sozusagen die Abweichung von der Norm genauer zu verstehen. Dies ist letztendlich – genauso wie die Perzentile, die hier im deutschsprachigen Raum häufiger verwendet werden – eine Möglichkeit, die Abweichung von der Norm darzustellen.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Frau Teupen, das beantwortet Ihre Frage; ich sehe den hochgehobenen Daumen. – Dann gucke ich in die Runde, ob es weitere Fragen gibt.

Ansonsten habe ich noch eine Frage an Sanofi-Aventis. Sie hatten in der Stellungnahme zur Schätzung der Patientenzahlen auf aktuelle GKV-Abrechnungsdaten hingewiesen. Diese waren aber bisher nicht Bestandteil der eingereichten Literatur. Haben Sie da zusätzliche Erkenntnisse, die wir bisher nicht haben? Ich weiß nicht, ob Sie zu dieser Frage etwas sagen können.

Frau Dr. Lampert (Sanofi): Uns liegen diesbezüglich keine publizierten Daten vor. Das sind tatsächlich Sanofi-interne Schätzungen, die wir eben aus den letzten drei Jahren gezogen und im Rahmen der Stellungnahme dann eingebracht haben.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Okay; herzlichen Dank. – Dann habe ich eine Frage von Frau Schütt.

Frau Dr. Schütt: Guten Tag. – Ich habe eine Frage zu den Nebenwirkungen, und zwar zur Definition der schweren Nebenwirkungen in der Studie ASCEND. Laut Studie sollten es UEs sein, die gemäß Einschätzung durch die Prüferinnen und Prüfer tägliche Aktivitäten verhindern und eine Behandlung erfordern. Im Modul wird aber angegeben, dass es sich dabei um schwere UEs gemäß CTCAE Grad ≥ 3 handelt. Könnten Sie dazu, welche Definition jetzt die korrekte ist, noch einmal etwas ausführen? – Herzlichen Dank.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Wer kann dazu etwas sagen? – Frau Lampert.

Frau Dr. Lampert (Sanofi): Im Studienbericht und auch im Dossier gilt die Definition, die im Protokoll enthalten ist, und das entspricht nach meiner Information eben der erstgenannten Definition, die Sie genannt hatten, Frau Schütt.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Frage beantwortet, Frau Schütt?

Frau Dr. Schütt (GKV-SV): Ja, herzlichen Dank. Meine Frage ist beantwortet.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Gut. – Dann habe ich eine Frage von Frau Selbach vom ICWiG.

Frau Dr. Selbach: Guten Tag. – Wir haben hier eine seltene Erkrankung, die sich auch durch die schwere Splenomegalie auszeichnet. Herr Dr. Park hat gerade schon gesagt, meistens führe die Splenomegalie zum Erstkontakt mit dem Gesundheitssystem. Jetzt haben wir hier auch eine RCT, was sehr begrüßenswert ist, und wir sehen eine deutliche Reduktion im Milzvolumen.

Meine Frage ist nun auch an den Kliniker, ob Sie erklären können, warum wir das in den Fragebögen nicht sehen. Es wurden ja sehr viele verschiedene Fragebögen verwendet, und in keinem zeigt sich dazu wirklich ein Effekt, obwohl wir so einen deutlichen Effekt im Milzvolumen sehen. Das würde mich noch interessieren; vielleicht haben Sie dafür eine Erklärung.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Herr Park.

Herr Dr. Park (UKM): Eine Erklärung habe ich tatsächlich leider nicht. Dieser Befund hat mich selbst überrascht, ehrlich gesagt. Ich habe darüber länger nachgedacht, und ich kann, wenn ich ganz ehrlich bin, auch nur darüber spekulieren, warum das so ist.

Ich könnte mir vorstellen, dass diese Milzvergrößerung, wenn wir uns das im Krankheitsverlauf anschauen, etwas ist, das gegenüber den anderen Symptomen und schwerwiegenden Krankheitsmanifestationen, die diese Erkrankung mit sich bringt, im Bewusstsein der Familien eher in den Hintergrund rückt, auch bei der Beantwortung dieser Fragebögen. Aber ich habe keine gute Erklärung dafür, warum sich das da nicht widerspiegelt. Das war ein Befund, der mich selbst auch überrascht hat.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Frau Lampert möchte gerne etwas ergänzen?

Frau Dr. Lampert (Sanofi): Ja; vielen Dank. – Wir können tatsächlich diese eindruckliche Milzvolumenreduktion nicht in patientenberichteten Endpunkten darstellen. Das liegt unter anderem daran, dass uns in dieser ultraseltenen Erkrankung keine krankheitsspezifischen Instrumente vorliegen, die eben explizit für diese Veränderung validiert wurden. Es gab den Versuch, dies mit dem Splenomegaly Related Score abbilden zu können; das ist nicht gelungen.

Man muss hier auch sehen, dass wir eine RCT mit einer hochwertigen Evidenz haben, allerdings mit einer sehr kleinen Fallzahl von nur 36 Patienten. Gerade in den binarischen Instrumenten, wie sie in der ASCEND-Studie und auch in der ASCEND-Peds-Studie eingesetzt wur-

den, stößt es dann an methodische Grenzen, mit solch kleinen Fallzahlen entsprechende Effekte nachweisen zu können, wenn sie eben nicht exorbitant groß sind.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Herzlichen Dank. – Herr Dr. Park, Sie wollten noch ergänzen?

Herr Dr. Park (UKM): Ja, da würde ich gerne direkt anschließen. – Es ist tatsächlich ein Phänomen – ein mir sehr gut bekanntes Phänomen, weil ich viel im Bereich der seltenen Erkrankungen arbeite –, dass die etablierten Parameter, die teilweise für die Bewertung herangezogen werden müssen, aus unterschiedlichen Gründen die Krankheitslast, also Burden of Disease, bei diesen Patienten nicht besonders gut erfassen können, sodass man dann häufig in dem Dilemma ist, ein nicht ganz hierzu „passendes“ Messinstrument verwenden zu müssen.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Herzlichen Dank. – Gibt es noch weitere Fragen oder Nachfragen? – Das scheint nicht der Fall zu sein. Ich bin da immer ein bisschen vorsichtig, weil ab und zu dann doch noch ein X aus dem Off kommt. Aber das scheint tatsächlich jetzt hier nicht der Fall zu sein.

Dann hat jetzt Sanofi-Aventis – wahrscheinlich Herr Kienitz – die Möglichkeit, für sich und für uns das Gesagte am Schluss noch einmal zusammenzufassen.

Herr Dr. Kienitz (Sanofi): Ja, sehr gerne, Frau Dr. Optendrenk. – Sehr geehrte Frau Dr. Optendrenk, sehr geehrte Damen und Herren, ich glaube, wir haben einerseits im Rahmen der heutigen Diskussion unsere Position zum Zusatznutzen von Olipudase alfa für die Behandlung der ASMD bei Kindern, Jugendlichen und Erwachsenen noch einmal deutlich gemacht, insbesondere im Eingangsstatement. Die Anerkennung der Patientenrelevanz des Milzvolumens durch das IQWiG und die Ableitung eines Anhaltspunktes für einen Zusatznutzen auch für die pädiatrische Population sind wichtig. Ich glaube, das ist noch einmal klar geworden, und darüber sind wir auch sehr erfreut.

Aufgrund der Größe des Effektes möchte ich noch einmal auf unsere Überzeugung rekurrieren, dass wir darin tatsächlich einen Hinweis auf einen erheblichen Zusatznutzen sehen können, gerade auch, wenn man sieht, wie viele oder besser gesagt wie wenige Patienten – im Prinzip in der BSC-Gruppe gar keine – gerade bei der Verringerung des Milzvolumens einen Fortschritt zeigen. Ich glaube, das ist auch durch die Ausführungen von Herrn Dr. Park noch einmal sehr schön deutlich geworden.

Insofern sind wir nach wie vor davon überzeugt, dass Olipudase alfa als einzige kausale Therapie der ASMD für die Patienten immer noch einen wirklich herausragenden, klinisch nachhaltigen Nutzen bietet und wirklich Vorteile gegenüber der symptomatischen Therapie bedeutet, die vor der Einführung Standard war und jetzt dadurch tatsächlich abgelöst worden ist. – Vielleicht so viel von meiner Seite nochmals als Zusammenfassung.

Vorsitzende Frau Dr. Optendrenk: Herzlichen Dank. – Dann darf ich mich bei Ihnen allen sehr herzlich für die Diskussion und für Ihre Fachexpertise bedanken, die Sie zur Verfügung gestellt haben.

Ich wünsche Ihnen einen wunderbaren weiteren Tag. Wir sehen uns sicherlich bald wieder. – Danke schön.

Die Sitzung ist beendet.

Schluss der Anhörung: 12:24 Uhr