GBA
Gemeinsamer
Bundesausschuss

Mündliche Anhörung

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

hier: Selpercatinib (D-1330 und D-1332)

Sitzung im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 26. Oktober 2026
von 10:00 Uhr bis 10:53 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Lilly Deutschland GmbH**:

Frau Prof. Dr. Kretschmer

Herr Dr. Mattern

Herr Dr. Kiesel

Angemeldeter Teilnehmender der **Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO)**:

Herr Prof. Dr. Wörmann

Angemeldete Teilnehmende der **Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie (GPOH)**:

Frau Prof. Dr. Redlich

Angemeldete Teilnehmende der **Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)**:

Herr PD Dr. Fetscher

Frau Prof. Dr. Hettmer

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 10:00 Uhr

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Ich begrüße Sie zur Anhörung zum Wirkstoff Selpercatinib zur Behandlung von pädiatrischen Patienten ab zwei Jahren mit fortgeschrittenem RET-mutiertem medullärem Schilddrüsenkarzinom (D-1330) und zur Behandlung von pädiatrischen Patienten ab zwei Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positivem, Iod-refraktärem Schilddrüsenkarzinom (D-1332). Es geht um ein neues Anwendungsgebiet, eben die Erweiterung um die Kinder von zwei bis zwölf Jahren.

Basis der heutigen Anhörung sind die Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers und die Dossierbewertungen des IQWiG vom 11. September 2026. Dazu haben Stellung genommen: Lilly Deutschland als pharmazeutischer Unternehmer, die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie zusammen mit der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie in beiden Indikationen sowie die AkdÄ in der zweiten Indikation. Wir haben weiterhin zwei Stellungnahmen des Verbandes Forschender Arzneimittelhersteller vorliegen.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir heute wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Lilly Deutschland müssten anwesend sein Frau Professor Dr. Kretschmer, Herr Dr. Mattern und Herr Dr. Kiesel, für die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie Herr Professor Dr. Wörmann, für die Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie Frau Professor Dr. Redlich, für die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft Herr PD Dr. Fetscher und Frau Professor Dr. Hettmer sowie für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller Herr Herden. Ist noch jemand in der Leitung, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich gebe zunächst dem pU die Möglichkeit, einzuführen. Danach treten wir in die Frage-und-Antwort-Runde ein. Frau Professor Kretschmer, ich denke, das übernehmen Sie.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Genau, vielen Dank. – Sehr geehrte Frau Vorsitzende! Meine Damen und Herren, guten Morgen! Wir sind heute erneut mit dem Ihnen bekannten Wirkstoff Selpercatinib bei Ihnen. In der ersten Anhörung stehen die Zulassungen von Selpercatinib für RET-positive Schilddrüsenkarzinome bei Kindern ab zwei Jahren zur Diskussion. Voraussetzung für eine Behandlung ist das Vorliegen einer RET-Genveränderung und ein fortgeschrittenes Stadium.

Zu Beginn stellt sich das Team vor, das heute hier ist, um Ihre Fragen zu beantworten. Dafür übergebe ich zuerst an meinen Kollegen, Herrn Felix Mattern.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Guten Morgen! Felix Mattern ist mein Name. Ich bin der verantwortliche Marketingmanager für den Wirkstoff Selpercatinib und war maßgeblich an der Dossiererstellung beteiligt. Damit übergebe ich an meinen Kollegen Jacek Kiesel.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Guten Morgen zusammen! Jacek Kiesel mein Name. Ich darf heute das Unternehmen Lilly seitens der Medizinischen Abteilung vertreten und übergebe an meine Kollegin Frau Kretschmer.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Vielen Dank. Mein Name ist Beate Kretschmer, ich leite die Abteilung Market Access – –

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Kretschmer, Entschuldigung, Sie sind ziemlich abgehackt, zumindest bei uns. Ich weiß nicht, wie es den anderen geht. Vielleicht könnten Sie während der Stellungnahme Ihr Bild ausschalten, damit wir es besser hören. Nicht, dass wir Sie nicht sehen wollen, aber – –

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Jetzt ist der Ton aus.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt ist der Ton weg, aber das Bild noch da. Andersherum wäre es gerade – –

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Jetzt ist der Ton wieder da.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Wieder abgehackt?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Das kommt immer zwischendurch. Wir merken es gleich.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Wir drücken noch einmal die Kabel fest, kleinen Moment.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Versuchen Sie es und ansonsten melden wir uns wieder.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Ich führe dann in die Indikation ein: Patienten mit einem Schilddrüsenkarzinom und einer RET-Genveränderung haben grundsätzlich eine schlechtere Prognose als Patienten ohne diese Genveränderung – und zwar unabhängig vom Alter. Auch unterscheiden sich die Symptome und die Therapie bei diesen sehr jungen Patienten nicht von denen der Kinder ab zwölf Jahren und den Erwachsenen, über die wir hier in vorangegangenen Verfahren zu Selpercatinib bereits diskutiert haben.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Kretschmer, Entschuldigung. Es gehen immer einzelne Worte verloren. Vielleicht schalten Sie die Kamera einmal aus, sonst haben wir nachher ein Problem mit dem Protokoll.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Dann setze ich hier noch einmal an: Das Schilddrüsenkarzinom lässt sich aufgrund der Histologie in eine Vielzahl von Unterformen aufteilen. In der heutigen Diskussion geht es um das medulläre und nichtmedulläre Schilddrüsenkarzinom. Die Erkrankungen gelten zu Beginn als gut und erfolgreich behandelbar. Mit der Erstdiagnose wird den meisten Patienten die Schilddrüse entfernt und eine Radiojodtherapie angeschlossen. Wenn die Radiojodtherapie versagt, was häufig mit dem Auftreten von Metastasen verbunden ist, wird die Behandlung eine extreme Herausforderung.

Die Symptome an sich sind schwerwiegend. Es handelt sich um Schluckbeschwerden, Halsschmerzen, Heiserkeit, Atemnot. Diese Beschwerden entstehen durch die lokale Raumforderung des Tumors im Hals oder durch die Metastasen. Die Symptome belasten nicht nur die Kinder tagtäglich, sondern auch direkt deren Eltern und Angehörige. Die emotionalen Belastungen sind für alle enorm.

Beide Formen der Schilddrüsenkarzinome treten ultraselten auf, wir gehen von jeweils null bis einem Neupatienten pro Jahr aus.

Bisher gab es für die Behandlung des medullären und nichtmedullären Schilddrüsenkarzinoms für Kinder ab zwei Jahren keine zugelassenen Therapien. Angewendet werden Multikinase-Inhibitoren wie Cabozantinib, Vandetanib, Sorafenib, Lenvatinib und Best Supportive Care, auch ohne die Zulassung für RET-Genveränderungen für Patienten ab zwei Jahre zu haben.

Die Multikinase-Inhibitoren wirken unspezifisch und hemmen eine große Anzahl von Tyrosinkinasen. Sie weisen wegen dieser mangelnden Spezifität ein ausgeprägtes Nebenwirkungsprofil auf und verursachen dadurch erhebliche Einschränkungen in der Lebensqualität. Dazu gehören Hand-Fuß-Syndrom, Diarrhöen, Haarausfall, Hautausschläge, Fatigue, Gewichtsverlust und Bluthochdruck.

Mit der Zulassung von Selpercatinib für Kinder ab zwei Jahren kann die Therapie mit den schlechter wirksamen und schlechter verträglichen Multikinase-Inhibitoren vermieden werden. Selpercatinib inhibiert zielgerichtet und passgenau das Genprodukt, das durch die

Treibermutation entsteht. Es wird oral in der Monotherapie angewendet. Weitere Therapien, die die RET-Genveränderung direkt behandeln können, sind auf absehbare Zeit nicht zu erwarten.

Um einen Zusatznutzen nachweisen zu können, haben wir Ihnen Daten aus einer einarmigen Studie vorgelegt. Diese war für die EMA ausreichend, eine positive Entscheidung zum Nutzen-Schaden-Risiko zu treffen, da die ausgeprägte und sehr überzeugende Wirksamkeit für die Jugendlichen ab zwölf Jahren und die Erwachsenen zum Teil aus direkt vergleichenden Studien vorgelegen hat. Ein Evidenztransfer war für die EMA an dieser Stelle kein Problem. Sie ließ Selpercatinib auf der Basis der vorliegenden Daten bei Kindern ab zwei Jahren und unter Bezugnahme auf die Daten der Erwachsenen und Kinder ab zwölf Jahren zu.

Die Auswertung der Daten bei Kindern ab zwei Jahren zeigt, was eine passgenaue, zielgerichtete Therapie auch in dieser Alterskohorte erreichen kann. Bei mehr als der Hälfte der Patienten sprach der Tumor auf die Behandlung mit Selpercatinib an, bei ungefähr einem Drittel der Kinder kam es sogar zu einer kompletten Remission. Für ein derart aggressives Tumorgeschehen sind das sehr gute Werte. Aus der Literatur wissen wir, dass nur für Vandetanib bei Kindern ab fünf Jahren ein Ansprechen bei Schilddrüsenkarzinomen gezeigt wurde, dies aber geringer ist. Für die übrigen Multikinase-Inhibitoren liegen überhaupt keine Daten vor.

Selpercatinib ist dabei gut verträglich und hat nachweislich auf das Wachstum und die Entwicklung der Kinder keinen Einfluss. Die orale Verfügbarkeit macht die Einnahme dazu für die kleinen Kinder besonders einfach. Bei Kindern ab zwei Jahren sehen wir für Selpercatinib sowohl beim medullären als auch beim nichtmedullären Schilddrüsenkarzinom insgesamt gute Ansprechraten bei guter Verträglichkeit. Beim medullären Schilddrüsenkarzinom gehen wir außerdem davon aus, dass sich die herausragenden Effekte, die wir bei Patienten ab zwölf Jahren und bei Erwachsenen gezeigt haben und die einen erheblichen Zusatznutzen hervorbrachten, auch auf Kinder ab zwei Jahren übertragen lassen. Die Hazard Ratio lag bei 0,2 – ein in der Onkologie äußerst seltener Wert. Es gibt keinen Beleg, der gegen eine Übertragung spricht.

Die Fallzahlen sind insgesamt gering, und bei Kindern ab zwei Jahren liegen sie mit null bis einer Neuerkrankung pro Jahr und Indikation noch weit unter denen der Erwachsenen. Daher wird es niemals möglich sein, die Evidenz zu generieren, die das AMNOG-Verfahren erfordert. Diese Benachteiligung ist nicht nachvollziehbar. Selpercatinib ist ein Paradebeispiel für eine personalisierte, zielgerichtete Therapie. Solche Therapien werden im AMNOG-Prozess aufgrund bekannter Herausforderungen regelhaft schlechter gestellt.

Wir sehen deshalb für das medulläre und nichtmedulläre Schilddrüsenkarzinom in der Gesamtschau einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen als gerechtfertigt an. – Vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Frau Professor Kretschmer. Es war immer noch abgehackt. Ich hoffe, wir bekommen das alles zusammen und alle haben das Relevante verstanden. Falls nicht, bitte ich darum, das gegebenenfalls nachzufragen. – Ich beginne mit einer Frage an die Kliniker, die an das anknüpft, was Sie eben vorgetragen haben. Der pharmazeutische Unternehmer strebt im vorliegenden Dossier einen Evidenztransfer der Ergebnisse der bereits bewerteten randomisierten Studie zu den Jugendlichen und Erwachsenen unter Berücksichtigung der zulassungsbegründenden einarmigen pädiatrischen Studie an. Eine Voraussetzung für den Evidenztransfer stellt die Vergleichbarkeit des Erscheinungsbildes der Erkrankung dar, und in der Nutzenbewertung hegt das IQWiG Zweifel an der Vergleichbarkeit der Erkrankung zwischen Kindern und Erwachsenen in Bezug auf Unterschiede in der Genese, dem Erscheinungsbild und der Prognose. Wie schätzen Sie als Kliniker die Vergleichbarkeit der Erkrankung und den Krankheitsverlauf zwischen Kindern und Erwachsenen ein? – Herr Professor Wörmann, bitte.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ich mache nur den Eingang und hoffe, dass das nicht abgehackt ist.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Wir hören Sie gut.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Gut. Wir halten das Selpercatinib, das haben wir vorher schon diskutiert, für einen deutlichen Fortschritt bei diesen Patienten. Wir reden über zwei verschiedene Erkrankungen, die wir deutlich trennen müssen. Es gibt welche, die genetisch eine RET-Fusion haben, und dann gibt es welche mit der RET-Mutation. Insofern ist das durchaus pathophysiologisch etwas unterschiedlich zu sehen. Für uns ist hierbei, glaube ich, das Wichtigste: Gehen wir zum Äußersten und reden miteinander. Das heißt, wir haben uns intensiv mit den Pädiatern auseinandergesetzt, hatten uns mit dem Thema auch vorher schon bei den Sitzungen hier auseinandergesetzt.

Der kritische Punkt, glaube ich, und das ist ein Vorteil in Deutschland, ist, dass die pädiatrische Onkologie ein Register dazu hat. Es gibt dort ein Register „Maligne endokrine Tumoren“. Das hat den großen Vorteil, dass man neben dem, was in den Studien ist, wirklich Realitätsdaten aus Deutschland bekommt, und die Leiterin dieses Registers ist Frau Professor Redlich, Klinikdirektorin aus Magdeburg. Deshalb haben wir den größten Teil der Sacharbeit auf sie geschoben, und ich freue mich, dass sie hier ist. Deshalb würde ich Sie gerne bitten, jetzt Frau Professor Redlich aufzurufen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Professor Redlich.

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Vielen Dank, Herr Professor Wörmann. Im Prinzip kann ich das, was Lilly gesagt hat, nur unterstützen. Wir haben ein bis zwei Erkrankungen bei Kindern mit medullärem Schilddrüsenkarzinom, also die, die eine RET-Mutation aufweisen, pro Jahr. Das heißt, man wird nie eine große Studie machen können. Die Erfahrungen, die wir aber haben, sind ausgesprochen gut. Wir haben aktuell zwei Kinder, die mit Selpercatinib laufen und ein deutliches Ansprechen zeigen. Es gibt dazu Daten zum Beispiel von Shankar et al., die sechs Kinder mit RET-Mutation und fortgeschrittenem medullärem Schilddrüsenkarzinom behandelten, die alle angesprochen haben. Das sind die Daten, die man im pädiatrischen Raum hat. Die sind natürlich begrenzt, aber die Genese ist wie bei den Erwachsenen. Es liegt eine RET-Mutation hereditär vor, sodass man das gut vergleichen kann.

Bei den differenzierten Schilddrüsenkarzinomen, die eine RET-Fusion haben, ist es so, dass im Kindesalter RET-Fusionen deutlich häufiger zu finden sind als bei den Erwachsenen. Bis zu 30 Prozent der Kinder mit differenzierten Schilddrüsenkarzinomen haben eine RET-Fusion. Wenn sie eine RET-Fusion haben, dann sind sie eher jünger und haben eher fortgeschrittene Tumoren. Auch da sehen wir ein Ansprechen. Es ist alles auf dem Niveau von Fallberichten und Einzelfällen. Aber das ist endlich ein Medikament, mit dem wir den Kindern wirklich helfen können, was nebenwirkungsarm ist und weil es doch gezielter und personalisiert auf die Erkrankung eingeht als diese Multikinase-Inhibitoren. Ich plädiere für einen Zusatznutzen, den man hier auch verifizieren kann. In unseren Daten machen wir das Off-Label und empfehlen, wenn wir nicht weiterkommen, bei diesen Patienten Selpercatinib.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Gibt es weitere Fragen aus dem Unterausschuss? – Frau Nink vom IQWiG.

Frau Nink (IQWiG): Ja, ich würde gerne an Ihre Frage anschließen, Frau Optendrenk, weil sich das für mich noch nicht so ganz erschlossen hat. Es geht um die Frage, ob die Erkrankung zwischen Erwachsenen und Kindern vergleichbar ist, jetzt spezifisch bezogen auf das Projekt mit dem medullären Schilddrüsenkarzinom. Nach unserem Verständnis ist es schon so, dass das bei den Kindern von der Genese her eher hereditär ist, bei den Erwachsenen eher sporadisch, was sich in etwas unterschiedlichen Ausprägungen der Krankheit niederschlägt, also eher multifokal, bei den Kindern auch beide Schilddrüsenlappen betroffen, während es bei den Erwachsenen eher solitär ist. Deshalb

noch einmal die Frage, wie vergleichbar die Erkrankungen bei Kindern und bei Erwachsenen sind. Das habe ich eben noch nicht so ganz verstanden.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Professor Redlich noch einmal.

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Dazu kann ich gerne noch etwas sagen. Sie haben recht, die sporadischen Fälle sind bei uns eine Seltenheit. Da finde ich die RET-Mutation nur im Tumor. Aber das, was es mit der Schilddrüse macht, ist identisch. Ob die RET-Mutation nur im Tumor oder im gesamten Körper ist, das macht mit der Tumorerkrankung in der Schilddrüse weniger. Die Kinder haben dann eher mehr Symptome. Das heißt, die haben noch andere Sachen, können auch Stigmata haben usw. Aber für die Tumorerkrankung macht das nichts. Das würde ich hinsichtlich der Tumorerkrankung schon für transferierbar halten.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Nink, beantwortet das Ihre Frage?

Frau Nink (IQWiG): Ja, vielen Dank. Aber weil Sie gerade gesagt haben, die Kinder haben möglicherweise etwas mehr Symptome usw.: Also von der Ausprägung her kann es sich dann schon etwas unterscheiden. Würde das auch prognostische Unterschiede machen?

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Wir kennen zum Beispiel die MEN2B-Patienten, die bestimmte RET-Mutationen haben. Die haben zum Beispiel noch Stigmata. Die sind kleinwüchsig, die haben seit dem Kindesalter eine Obstipation, die haben Lidanhänger, sogenannte Neurinome. Da ist es in den anderen Organen. Das sind aber andere. Die können auch ein Phäochromozytom entwickeln usw. Da gibt es noch andere Sachen. Aber hinsichtlich der Schilddrüsenkarzinome, worum es heute geht, würde ich da keinen großen Unterschied sehen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Nink?

Frau Nink: Ja, vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Okay. Dann Herr Rimmele.

Herr Rimmele (Patientenvertrtung): Ja, ich bin ein wenig erstaunt, Frau Redlich. Wir gingen bisher immer davon aus, dass es vor allem die verschiedenen Mutationen sind, die besonders aggressiv sind, und dass diese Mutationen im frühen Kindesalter in der Regel wesentlich aggressiver sind, wenn es nicht gerade MEN2A ist, die moderaten Mutationen. Können Sie dazu vielleicht noch etwas ausführen?

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Na klar. Es gibt eine strenge Genotyp-Phänotyp-Korrelation. Das heißt, es kommt darauf an, was es für eine Mutation ist. Die 918er tritt im Säuglingsalter gern auf, wenn sie hereditär ist. Die kann natürlich auch sporadisch bei den Erwachsenen auftreten. Klar, dann haben die ein medulläres Schilddrüsenkarzinom im ersten Lebensjahr, und man nimmt die Schilddrüse so früh wie möglich raus. Da haben sie recht, dass das auch noch von der Genetik abhängt. Aber wenn im Erwachsenenalter eine 918er auftritt, auch wenn es sporadisch ist, unterscheidet sich das wahrscheinlich auch nicht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Kiesel von Lilly möchte ergänzen. Bitte.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Nur eine kleine Ergänzung, Frau Redlich hat alles gesagt: Die molekulare Grundlage, über die wir sprechen, ist bei Erwachsenen und Kindern gleich. Im Prinzip haben wir mit Selpercatinib das einzige Medikament, das wirklich zielgenau gegen diese Alteration vorgeht. Mir sind keine anderen Medikamente mit diesem Nebenwirkungsprinzip und dieser Effektivität bekannt, die man anstelle dessen verwenden könnte … (akustisch unverständlich)

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

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Vielleicht kann ich das einordnen: Wir haben eine Reihe von Erkrankungen, die wir im Kindes- und Jugendalter und auch bei Erwachsenen haben. Letztes Mal sind wir stundenlang mit Blinatumomab hier bei Ihnen gewesen. Da ging es um

die Frage der akuten lymphatischen Leukämie. Da hatten wir dargestellt, dass es bei kleinen Kindern für die akute lymphatische Leukämie einen Gipfel gibt, die extrem gut behandelbar sind. Dann haben wir einen Altersgipfel bei über 50-Jährigen, die dann aber genetisch anders sind. Die Diskussion, die wir hier und auch unter uns haben, ist: Gibt es einen Unterschied zwischen einem 11- und einem 13-Jährigen und einem 17- und einem 19-Jährigen? Das können wir nicht sehen, und das war, glaube ich, das, was wir ausdrücken wollten, dass uns diese Grenzbildung, die zwar in dem Verfahren vorgegeben ist, hier artifiziell erscheint, weil es biologisch so eine Doppelgipfligkeit nicht gibt.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Frau Teupen.

Frau Teupen (Patientenvertretung): Es wird in der IQWiG-Bewertung kritisiert, dass die entsprechende Patientengruppe, um die es hier geht, aus der LIBRETTO-Studie nur fünf Patienten umfasst und aufgrund des Datenschutzes keine separate, genauere Darstellung erfolgt ist. Vielleicht können Lilly und die DGHO etwas dazu sagen, wie das bei fünf Patienten in einer Studie zu bewerten ist.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Mattern.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Wir haben es hier mit extrem wenigen Patienten aus unserer Studie zu tun. Sie haben die fünf Patienten unter zwölf Jahren genannt. Das Problem, das wir sehen, sind tatsächlich die patientenindividuellen Daten. Die Module 1 bis 4 werden veröffentlicht. Eine Darstellung weniger oder einzelner Kinder birgt das Risiko einer Reidentifikation. Wir haben uns dazu entschieden, dieses Risiko nicht einzugehen und nur die Gesamtpopulation im Dossier darzustellen. Die genaueren Daten liegen dem GBA im Studienbericht und dem nicht veröffentlichten Modul vor.

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

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Uns ist völlig bewusst, Frau Teupen, dass das eine ganz schmale Datenbasis ist. Deshalb hatte ich am Anfang – und wir auch vor drei Wochen – Kontakt mit dem Register aufgenommen, um zu schauen, wenn es Patienten in Deutschland oder aus der Szene gibt, die nicht in der Studie behandelt wurden, dass man solche Evidenzen zumindest berücksichtigt. Das war das, was Frau Redlich am Anfang direkt aufgenommen hatte, weil sie dafür das Register durchgeschaut und auch die internationalen Kollegen gefragt hatte. Da entsteht zumindest der Eindruck, dass die Daten passen, ohne das in irgendeiner Weise, glaube ich, quantifizieren zu dürfen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Teupen, passt das für Sie?

Frau Teupen (Patientenvertretung): Ja, vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Dann habe ich Herrn Schmidt.

Herr Schmidt (GKV-Spitzenverband): Ich würde gerne an der Stelle einhaken und beim Unternehmer zu den Daten nachfragen, die Sie vorgelegt haben. In Ihrer Wahrnehmung hat das IQWiG bereits alle Daten, um diese Populationen hinreichend vergleichen und darstellen zu können. Im IQWiG-Bericht habe ich es etwas anders wahrgenommen, dass hier doch eher ein narrativer Vergleich vorliegt. Diese Frage geht an den pU.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Mattern.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Die Kritik des IQWiG ist an sich prinzipiell nachvollziehbar. … (akustisch unverständlich) natürlich die Darstellung im Dossier, die von der Modulvorlage verlangt, auch in dem Detailgrad. Dennoch denken wir, dass im Studienbericht dem IQWiG alle notwendigen Daten vorlagen, um hier eine Einschätzung vornehmen zu können. Von daher sehen wir die Datenlage hier nicht als kritisch oder aussagekräftig … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Bevor Frau Nink noch etwas sagt, ziehe ich Herrn Kiesel vor. Bitte.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Eine kleine Ergänzung meinerseits: Frau Kretschmer hat es zu Beginn ausgeführt, und es wurde auch von den Klinikern bestätigt: Wir sprechen hier von extrem wenigen Patienten, die man über das Jahr findet, was letztendlich eine gute Sache ist. Nichtsdestotrotz ist man auf das Register zugegangen und hat geschaut, ob sich die Daten, die dort ermittelt werden, mit den Daten decken, die bei uns im Dossier kommuniziert wurden, und das passt überein. Von daher ist das … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Nink, bitte.

Frau Nink (IQWiG): Ich habe jetzt weniger eine Frage als eine Klarstellung. Das Verfahren funktioniert nicht so, dass wir uns irgendwelche Daten aus dem Studienbericht heraussuchen, sondern dass Sie mit Ihrem Dossier entsprechend Daten vorlegen. Da geht es auch nicht um die Frage fünf Patienten oder doch alle zwölf Patienten, die Sie in dieser einarmigen Studie hatten. Ich finde, man kann auch fünf Patienten auswerten. Es ging nicht darum, einzelne Patienten auszuwerten. Aber Sie haben weder eine entsprechende Aufbereitung der Population im Anwendungsgebiet gemacht, noch der größeren Population mit den zwölf Patienten. Wir haben eine Darstellung dieser einarmigen Daten. Wir haben keine Suche gehabt nach Daten zur Vergleichstherapie. Wir haben keinerlei Aufbereitung, die irgendwie zeigt, dass die Populationen vergleichbar sind zu der Erwachsenenstudie. Wir haben keinerlei Aufbereitung der Daten der Erwachsenenstudie für dieses Dossier, um diesen Evidenztransfer irgendwie beurteilen zu können.

Das wollte ich an dieser Stelle noch einmal einordnen, weil eben der Kommentar kam, in den Studienberichten wäre alles gewesen, was man so brauchen würde. So funktioniert das Verfahren nicht.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Kretschmer.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Wir haben darüber gesprochen, dass wir hier eine extrem kleine Kohorte haben. Das ergibt sich aus der … (akustisch unverständlich) der Erkrankung. Die Daten sind natürlich – – Frau Nink, Sie sagen es, am liebsten hätten Sie die Gegenüberstellung, eine statistische Auswertung dazu … (akustisch unverständlich) Wir wissen, auch das wäre nicht gelungen, weil einfach … (akustisch unverständlich) Wir reden hier schließlich … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Kretschmer, wir können Sie jetzt gerade kaum mehr verstehen. Es ist total zerhackt.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Sehr seltsam. Warten Sie kurz. Ich gebe meinem Kollegen einmal das Kabel. – Wir kämpfen noch.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Es hört sich schon besser an.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Hören Sie uns jetzt besser?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Etwas besser, aber hallend.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Warum auch immer das so ist. – Ich hatte begonnen, auf Frau Nink zu reagieren und zu sagen, dass wir hier genau das Problem der kleinen Patientengruppen haben. Die Evidenz, die wir Ihnen mitgebracht und vorgestellt haben, ist die Darstellung der Daten, die wir haben, und die Daten zeigen ein gutes Ansprechen. Man kann das – und ich verstehe das, wenn man dieses Verfahren mit einem Erwachsenenverfahren vergleicht und die gleichen Anforderungen stellt – natürlich kritisieren, aber die Daten, die wir Ihnen zusammengefasst haben, zeigen, dass wir eine gute Ansprechrate haben, dass wir sogar Remissionen haben, die für die Kinder doch ganz entscheidend sind. Deshalb ist diese Besonderheit für die pädiatrische Indikation mit null bis einer Neuerkrankung pro Jahr genau diese Herausforderung, die Sie beschreiben. Wir würden gerne mehr darstellen, besser darstellen, Vergleiche mit den Erwachsenenindikationen machen, aber das ist einfach die Herausforderung, die wir haben.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Teupen.

Frau Teupen (Patientenvertretung): Jetzt muss ich noch einmal nachhaken, weil ich Frau Nink so verstanden hatte, dass es nicht ein Wunder ist, was man braucht, sondern dass man die Daten, die da sind, noch besser aufbereiten sollte. So habe ich das verstanden. Es sind Kinder, und da ist es wichtig, dass die Arzneimittel sicher sind. Ich hatte Frau Nink so verstanden, dass wir keinen Vergleich zu Erwachsenen haben wollen, aber dass die Daten, die da sind, noch etwas genauer aufgearbeitet werden sollten. Vielleicht können Sie dazu noch etwas sagen, Frau Kretschmer.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Mattern hat sich gemeldet.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Ich verstehe die Kritik, die können wir nachvollziehen. Ich möchte allerdings noch einmal den Punkt hervorheben, weshalb wir uns zu dieser Darstellung entschieden haben, wie wir es auch im Dossier begründet haben. Das ist tatsächlich der Schutz der individuellen Patientendaten, hier im Speziellen bei der vulnerablen Gruppe der Kinder. Eine Darstellung im Dossier mit tieferem Detailgrad hätte aus unserer Sicht eine Reidentifikation erlaubt, und die wollten wir schlichtweg verhindern.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Danke schön. – Frau Kretschmer direkt dazu.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Frau Teupen hat es angesprochen, es geht um Kinder und um die Sicherheit. Das hat die EMA bestätigt. Die EMA hat durch ihre Nutzen-Schaden-Auswertung eindeutig gesagt, es kann in Kindern sicher angewendet werden, und die Verträglichkeit spricht auch dafür, um das an der Stelle noch einmal klarzustellen. Wir haben eine Substanz, die bei Kindern sicher angewendet werden kann.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Danke schön. – Herr Schmidt.

Herr Schmidt (GKV-Spitzenverband): Danke für die Reaktion auf die Rückfrage. Das war mir auch aufgefallen, zumal Herr Wörmann eingangs den Stellenwert der Register in der Indikation hervorgehoben hat. Da hätte ich schon erwartet, dass Sie als Unternehmer hier transparent eine Informationsbeschaffung darlegen und vielleicht in so einer Situation sogar auf solche Daten zurückgreifen, um diese Population auf der Datenebene vielleicht etwas besser greifbar zu machen, wenn Sie diese große Angst haben, dass hier eine Reidentifizierung stattfinden kann. Das haben Sie in dem Fall auch nicht gemacht. Wir haben jetzt nur von Herrn Kiesel gehört, dass es in dieser Indikation ein bis zwei Fälle im Jahr gäbe. Datenbasiert war ich auch überrascht, dass Sie hier nicht mehr dargestellt haben und nicht bereit waren, mehr darzulegen. – Wenn der Unternehmer reagiert hat, hätte ich noch eine Frage zum DTC, die ich gerne im Anschluss stellen würde.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Mattern.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Ich würde gerne kurz auf den Punkt Informationsbeschaffung und einen möglichen Vergleich der Daten eingehen. Wie gesagt, wir sind hier in einem Bereich mit einer extrem geringen Anzahl an Patienten. Ich glaube, Herr Wörmann hatte das auch erwähnt.

(Tonausfall)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt müssen wir warten, bis Lilly zurück ist, sonst macht es keinen Sinn.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Hören Sie mich?

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Sehen Sie und hören Sie uns?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt wieder, aber Sie sind zwischendurch immer mal wieder eingefroren.

(Von Lilly Deutschland wird versucht, das technische Problem zu beheben.)

Irgendwelche Mikros sind an, wir hören Sie immer mehrfach. Wollen Sie vielleicht noch einmal rausgehen und wieder hereinkommen? Ich hoffe, Sie kommen dann wieder.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Können Sie uns jetzt hören? Tut uns leid für die Umstände. Ich mache noch einmal die Kamera an. Funktioniert es jetzt, auch mit dem Bild?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt ja. Wir würden Sie auch ohne Bild nehmen.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Ich kann gerne fortsetzen: Sie hören uns nach wie vor?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Sehr gut. Was ich noch hervorheben wollte: Selbst beispielsweise ein indirekter oder historischer Vergleich oder prinzipiell nicht adjustierte Vergleiche mit Einzelberichten hier in diesem (akustisch unverständlich) wären schlichtweg hochgradig verzerrt und nach unserem Verständnis nach der IQWiG-Methodik nicht (akustisch unverständlich) – –

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt machen wir weiter mit Herrn Schmidt.

Herr Schmidt (GKV-Spitzenverband): Dann hätte ich noch eine Frage zum differenzierten Schilddrüsenkarzinom. Wir haben bisher sehr viel über das MTC gesprochen. Da hätte ich eine Frage an die Kliniker und Klinikerinnen zur Vergleichstherapie. Ist es so, dass man in diesem Anwendungsgebiet immer zur aktiven Therapie greifen würde? Oder würde man bei diesen sehr jungen Patienten vielleicht die Nebenwirkungen der TKI stärker abwägen und vielleicht doch auf eine abwartende Therapie abstellen? Könnten Sie dazu vielleicht noch etwas sagen?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Redlich.

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Wir haben ungefähr 20 bis 30 Kinder im Jahr, die an differenzierten Schilddrüsenkarzinomen erkranken. Viele dieser Kinder kommen mit der konventionellen Therapie, also Operation plus eine Radiojodtherapie, in eine komplette Remission. Es gibt aber einen Teil der Kinder, das sind vor allem die jüngeren Kinder, die häufiger RET-Fusionen haben, die durch diese konventionelle Therapie nicht in eine komplette Remission kommen. Bei denen, wie gesagt, ist häufiger auch eine RET-Fusion zu finden, sodass sie irgendwann vielleicht einmal von der RET-Inhibition profitieren. Man kann natürlich bei diesen Patienten auch abwarten, weil das differenzierte Schilddrüsenkarzinom sehr langsam wächst. Auch wenn wir das mit einer Radiojodtherapie behandeln und es spricht nicht adäquat an, dann bleibt das über mehrere Jahre durchaus stabil – später können die dann von der RET-Inhibition profitieren, so handhaben wir das jedenfalls –, sodass das bei den kleineren Kindern wie eine chronische Erkrankung zu werten ist.

Aber das ist ein Medikament, das man sich aufheben kann und das dann zu einer Redifferenzierung bzw. wieder zu einer Remission führen kann. Aber da stehen wir noch am Anfang. Wir haben in unseren Daten über 700 Patienten mit differenziertem Schilddrüsenkarzinom im Kindesalter, aber wir haben die RET-Fusion nicht systematisch untersucht. Das sind nur Daten, die ich aus der Literatur habe. Das muss ich einschränkend sagen. Aber wir sehen immer, dass die Kinder unter zehn Jahren anders laufen. Möglicherweise liegt das an der RET-Fusion. Das müssen wir aber in unserer Kohorte erst noch nachweisen.

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

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ich glaube, der Ansatzpunkt für uns ist bei den jungen Erwachsenen nicht anders als bei den Kindern, aber etwas anders als eben dargestellt. Ich glaube, wir reden hier über behandlungsbedürftige Patienten. Wir sehen welche, die nicht behandlungsbedürftig sind, und da dürfen wir es nicht machen. Aber bei den Behandlungsbedürftigen ist jetzt die Frage: Setzen wir Sorafenib als Multikinase-Inhibitor ein oder zum Beispiel Selpercatinib? Bei Erwachsenen hätten wir auch noch Lenvatinib. Der

Punkt ist, dass Sorafenib ein ausgesprochen unfreundliches Medikament ist. Das macht zum Beispiel Hand-Fuß-Syndrome, das macht Mukositis. Es ist mit relativ hohen Nebenwirkungen und damit niedriger Compliance belastet. Das müssten jetzt die Kinder extra beantworten. Deshalb ist für uns die Diskussion beim letzten Mal gewesen: Wenn wir behandeln müssen, was ist dann das präferierte Medikament? Da ist im subjektiven Verträglichkeitsbereich das Selpercatinib den Multikinase-Inhibitoren deutlich überlegen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Schmidt. Beantwortet das Ihre Frage?

Herr Schmidt (GKV-Spitzenverband): Ja, vielleicht noch mal der Punkt der Kriterien, auch an Frau Redlich: Sie haben gesagt, Sie können nicht so genau sagen, in welchen Fällen Sie jetzt zuwarten würden und wann Sie die aktive Therapie wählen. Würde man das an Kriterien wie Symptomatik festmachen? Kann man überhaupt an Kriterien festmachen, in welchen Fällen Sie sich letztlich für die aktive Therapie entscheiden? Oder ist das eher eine Therapie nach ärztlicher Maßgabe an der Stelle, wo man das dann patientenindividuell festsetzt?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Professor Redlich.

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Ja, wir machen natürlich erst die Standardtherapie, also Operation, Radiojodtherapie, die kann man auch wiederholen. Wenn wir aber sehen, wir kommen nicht in eine komplette Remission, dann muss man irgendwann aufhören, weil die Kinder sonst eine pulmonale Toxizität erreichen. Die bekommen dann eine Lungenfibrose. Da hört man auf, und dann monitort man das Ganze. Das kann über Jahre stabil sein. Das sehen wir manchmal im Kindesalter gar nicht mehr.

Ich kenne einen Fall aus Dubai. Nach 40 Jahren ist das in eine progrediente Erkrankung übergegangen, und die haben dann Selpercatinib gegeben. Aber ansonsten ist es etwas, was wir einfach nur monitoren. Wenn wir sehen, dass die pulmonal schlechter werden und die Metastasen wachsen, dann würden wir Selpercatinib einsetzen. Ich habe einmal nachgeschaut, wir haben es bisher bei einer Patientin von 700 eingesetzt. Sie sehen schon, wir sind da zurückhaltend, und es ist bei den Kindern nicht immer rasch progredient. Aber im Erwachsenenalter wird das irgendwann zum Problem. Dazu kann vielleicht Herr Wörmann etwas sagen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Wörmann.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ich glaube, das ist das, was ich eben als „behandlungsbedürftig“ angesehen habe, und „behandlungsbedürftig“ sind zwei Dinge. Das ist einmal das, was wir messen, also zum Beispiel pulmonale Metastasen. Aber das kann auch Nicht-Erträglichkeit der Krankheit sein, dass Patienten bis zum jungen Erwachsenenalter auch behandelt werden wollen. Deshalb würde ich den Terminus „Behandlungsbedürftigkeit“ gerne so lassen. Darin sind ziemlich viele objektive Faktoren, die man messen kann. Aber das kann auch Belastung durch die Krankheit im subjektiven Bereich sein.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Herr Kiesel, Sie wollten noch ergänzen.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Ich denke, Herr Wörmann hat es ganz gut gesagt und vielleicht eine kleine Ergänzung: Das ist das Verständnis, was wir aus den zahlreichen Gesprächen mit den Meinungsbildern mitgenommen haben. Früher hatte man, weil man mit Lenvatinib und Sorafenib zwei Multi-Tyrosinkinase-Inhibitoren hatte, die eine gewisse Effektivität haben, die man sich aber mit gravierenden Nebenwirkungen erkaufte, diese häufig eher nach hinten gestellt, um dem Patienten diese Nebenwirkungen nicht zukommen lassen zu müssen. Mit Selpercatinib haben wir aber jetzt eine Situation, dass wir eine Therapiemöglichkeit haben, zielgerichtet mit einem weitaus verträglicheren Nebenwirkungsgefühl als bei den Multi-Tyrosinkinase-Inhibitor-Inhibitoren. Deshalb, Herr Schmidt – und ich glaube, darauf zielte Ihre Frage ab –, ist zumindest das Feedback aus den Gesprächen, die wir sammeln, dass man

beim Selpercatinib eher dazu tendiert, die Therapie frühzeitiger zu beginnen als bei den Multi-Tyrosinkinase-Inhibitoren wie Sorafenib, Lenvatinib, weil Selpercatinib mit einem besseren Nebenwirkungsgefühl daherkommt als die Multi-Tyrosinkinase-Inhibitoren.

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

Herr Schmidt (GKV-Spitzenverband): Ja, danke an die Kliniker, die das noch einmal eingeordnet haben.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Gibt es weitere Fragen? – Herr Rimmele.

Herr Rimmele (Patientenvertretung): An Frau Redlich: Wie weit werden die Kinder in Zentren behandelt? Ich bin diesbezüglich etwas verunsichert, weil das, was Herr Wörmann gesagt hat, doch sehr subjektiv ist. Inwieweit werden die Kinder in Zentren behandelt? Wir bekommen durchaus mit, dass es auch bei Selpercatinib Nebenwirkungen gibt, obwohl sie wesentlich besser sind als bei Sorafenib oder Lenvatinib, dass es da durchaus erhebliche Nebenwirkungen geben kann und dass man dann Dosisreduzierung oder auch Pausen machen muss, um das überhaupt verträglich zu machen. Meine Frage wäre: Wie weit werden diese Kinder in Zentren behandelt, um hier stärkere Erfahrungen zu sammeln, gerade in puncto Nebenwirkungsmanagement? Inwieweit werden zum Beispiel auch Nebenwirkungen in Ihrem Register erfasst?

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Wir erfassen die Nebenwirkungen schon aus kinderonkologischer Sicht, ja. Von den Multi-TKIs wissen wir, dass die Kinder viele Hautnebenwirkungen haben und dass dann oftmals abgebrochen wird. – Das zum Punkt 1.

Punkt 2: In der Kinderonkologie sollten alle Kinder in einem kinderonkologischen Zentrum angebunden sein. In den meisten Fällen wird das schon so sein. Bei den differenzierten Schilddrüsenkarzinomen, bei denen der Kinderonkologe eigentlich nur der Vermittler ist – es operiert ein anderer, die Radiojodtherapie macht ein anderer –, mag es schwierig sein. Da kämpfen wir aber wirklich bei den Kinderendokrinologen, bei den endokrinen Chirurgen, bei den Kinderchirurgen darum, dass die unser Register kennen und dass die Kinder gemeldet werden. Wenn sie gemeldet werden, dann werden sie in unserem Tumorboard besprochen, und dann können wir auch Einfluss auf die Therapie nehmen. Ziel muss sein, dass die Kinder angebunden sind, auch um die Daten zu erfassen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Rimmele, ist die Frage beantwortet?

Herr Rimmele (Patientenvertretung): Ja, danke.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Ich schaue in die Runde, ob es weitere Fragen gibt. Manchmal braucht das X etwas, habe ich gelernt, bis es bei uns ankommt. – Das ist nicht der Fall. Jetzt hat der pharmazeutische Unternehmer die Gelegenheit für eine Zusammenfassung. Frau Professor Kretschmer, Sie haben das Wort.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Ich hoffe, das Mikrofon mag mich jetzt. – Ja, wir haben heute in der ersten Anhörung diskutiert, wie ist es bei Selpercatinib … (akustisch unverständlich) Die erste Frage, die aufkam, war: Ist die Erkrankung zwischen den Kleinen und den Erwachsenen vergleichbar? Da es sich hier um eine singuläre Genänderung handelt, also Genalteration von einzelnen Genen, kann man davon ausgehen, dass es bei Kindern … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Kretschmer, wir hören Sie nicht mehr, nur noch einen Brei. Leider.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Ich versuche es einmal – –

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt haben Sie mehrere Rückkopplungen.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Hören Sie mich jetzt?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Wir booten gleich unsere Rechner, vielleicht wird es dann in der nächsten Anhörung besser.

Ich fasse noch einmal zusammen: Die erste Frage, die Sie gestellt haben, war, ob die Ergebnisse, die wir für die Kleinkinder ab zwei Jahren gezeigt haben, mit denen der Erwachsenen vergleichbar sind. Mein Argument war, und das wurde von den klinischen Experten in der Diskussion bestätigt, dass wir ein Genprodukt haben, das auf der Basis einer einzelnen Genänderung entsteht und wir damit zielgerichtet an der Stelle wirksam werden können, wenn wir das Genprodukt mit Selpercatinib inhibieren. Deshalb gehen wir davon aus, dass die Daten übertragbar sind und die sehr guten Daten, die wir bei MTC über die RCT gezeigt haben und die zu einem erheblichen Zusatznutzen geführt haben, auch auf die Kleinkinder übertragbar sind.

Die Verträglichkeit ist im Vergleich zu den Multikinase-Inhibitoren deutlich besser. Die schwerwiegenden Nebenwirkungen, die wir bei den Multikinase-Inhibitoren haben, die gerade genannt wurden, Hautveränderungen, Hand-Fuß-Syndrome, sieht man bei Selpercatinib überhaupt nicht. Deshalb ist die gute Verträglichkeit zusammen mit den hohen Ansprechraten und sogar die Remission, die wir in den Daten zeigen konnten, für uns ein Indiz dafür, dass wir hier einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen sehen; denn eine RCT wird sich bei diesen kleinen Kindern nie realisieren lassen, und damit haben wir das Thema, dass wir einen Evidenztransfer hier als gerechtfertigt ansehen. – Vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank an Sie alle, dass Sie heute an der Anhörung teilgenommen haben. Einen Teil sehe ich gleich wieder. Damit schließe ich die jetzige Sitzung und wünsche allen, die ich nicht mehr sehe, einen wunderbaren Tag. Herzlichen Dank.

Schluss der Anhörung: 10:53 Uhr