GBA
Gemeinsamer
Bundesausschuss

Mündliche Anhörung

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

hier: (Vamorolon (D-1345)

Sitzung im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 26. Oktober 2026
von 13:00 Uhr bis 13:20 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH**:

Herr Foerster

Frau Dr. Hutz

Herr Dr. Tilmann

Frau Fritzsche

Angemeldeter Teilnehmender des **Muskelzentrums Mittel- und Nordhessen/Klinik für Pädiatrische Neurologie, UKGM Gießen**:

Herr Prof. Hahn

Angemeldete Teilnehmende der **Neuropädiatrie Universitätskinderklinik Bochum**:

Frau Dr. Köhler

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

Herr Dr. Sauer

Herr Volz

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Roche Pharma AG**:

Frau Bayer

Herr Flacke

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

Frau Glaser

Frau Pranjkovic

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

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 13:00 Uhr

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Ich begrüße Sie zur Anhörung zu dem Wirkstoff Vamorolon zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie; Patienten ab 2 Jahren. Es handelt sich um ein Orphan Drug mit einem neuen Anwendungsgebiet.

Basis der heutigen Anhörung sind das Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers und die Nutzenbewertung der Fachberatung Medizin vom 15. September 2026. Wir haben Stellungnahmen erhalten vom pharmazeutischen Unternehmer Santhera Pharmaceuticals, von Herrn Professor Hahn, von Roche, Servier Deutschland und ITF Pharma sowie vom Verband Forschender Arzneimittelhersteller. Das ist heute unsere Beratungsgrundlage.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Santhera Pharmaceuticals müssten anwesend sein Herr Foerster, Frau Dr. Hutz, Herr Dr. Tilmann und Frau Fritzsche, für das Muskelzentrum Mittel- und Nordhessen/Klinik für Pädiatrische Neurologie am UKGM Gießen Herr Professor Hahn, für die Neuropädiatrie Universitätskinderklinik Bochum Frau Dr. Köhler, für ITF Pharma Herr Dr. Sauer und Herr Volz, für Roche Pharma Frau Bayer und Herr Flacke, für Servier Deutschland Frau Glaser und Frau Pranjkovic 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. Wer macht das für den pU?

Herr Foerster (Santhera Pharmaceuticals): Das mache ich.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Foerster, bitte schön.

Herr Foerster (Santhera Pharmaceuticals): Sehr geehrte Frau Dr. Optendrenk! Sehr geehrte Damen und Herren! Eine kurze Teamvorstellung hatten wir bereits. Vielleicht noch zu den Rollen: Birgit Hutz ist General Managerin für die DACH-Region, Dr. Wido Tilmann ist Medical Director in der Region, Sonja Fritzsche vom Beratungsunternehmen SmartStep hat uns bei der Erstellung des Dossiers unterstützt.

Der GBA hat sich in jüngerer Vergangenheit bereits in zwei Verfahren mit der Duchenne-Muskeldystrophie beschäftigt. Darunter war auch unser Erstverfahren im Jahr 2024, damals noch in der Zulassung für DMD-Patienten ab 4 Jahren. Ich gehe daher jetzt nicht auf die erhebliche Schwere der unheilbaren Muskelerkrankung, die immer noch limitierten Behandlungsmöglichkeiten und die damit verbundenen Belastungen für Patienten, Familien und Betreuer ein.

Im Mai dieses Jahres hat die EMA das Zulassungsalter für Vamorolon auf 2 Jahre gesenkt. Sie folgt damit der US-Zulassung der FDA. Die Patientenpopulation dieser Zwei- bis Vierjährigen ist Gegenstand des heutigen Verfahrens, und darauf gehe ich jetzt im Speziellen ein: Es ist so, dass der für die DMD charakteristische Dystrophin-Mangel, der zu muskulären Mikroläsionen, dem daraus resultierenden Entzündungsgeschehen und letztendlich zum Verlust der Muskelfunktionalität und zum frühzeitigen Tod führt, bereits ab Geburt vorhanden ist.

Zunächst überkompensiert die frühkindliche Entwicklung das Krankheitsgeschehen. Dadurch erklärt sich auch das Diagnosealter von zurzeit rund dreieinhalb Jahren. Mit künftigen neuen genetischen Diagnoseverfahren wie zum Beispiel im Rahmen des EU-Projektes Screen4Care könnte das Diagnosealter absinken. Sind Eltern wegen einer verzögerten Entwicklung besorgt, wird ihnen häufig ein „Ja, dass das wächst sich schon noch aus“ erwidert. Es ist

allerdings keinesfalls so, dass diese sehr jungen Kinder nicht schon erkrankt wären. Es ist so, dass man es noch nicht sieht.

Daraus ergibt sich, dass die diagnostizierte Patientenpopulation extrem klein ist. Das Patientenregister TREAT-NMD weist für die infrage kommende Altersklasse in Deutschland 18 Patienten auf. Während sich der GBA im Erstverfahren zu Vamorolon dahin gehend geäußert hat, es sei von einer regelhaften Behandlung von Duchenne-Patienten ab 4 Jahren mit den klassischen Corticosteroiden Prednison und Deflazacort auszugehen, werden diese Substanzen in dieser sehr vulnerablen Gruppe der Zwei- bis Vierjährigen nicht eingesetzt. Keiner dieser bereits erwähnten 18 deutschen Patienten im Register erhält ein Steroid. Wie gesagt, setzt das Entzündungsgeschehen ab Geburt oder sogar intrauterin ein. Patienten würden theoretisch von einer frühestmöglichen antiinflammatorischen Therapie profitieren, um dem unwiederbringlichen Verlust der Muskulatur frühestmöglich entgegenzuwirken.

Allerdings wird mit dem Beginn einer Steroidtherapie bewusst gewartet, um diese sehr jungen Patienten in ihrer Entwicklungsphase nicht den bekannten, sehr schweren Nebenwirkungen einer dauerhaften Prednison- oder Deflazacort-Gabe auszusetzen. Genannt seien hier speziell Wachstumshemmung und Knochendemineralisierung.

Hier unterscheidet sich das dissoziative Corticosteroid Vamorolon. Es hat keinen Einfluss auf das Größenwachstum und die Knochengesundheit und wird mittlerweile regelhaft bei neu diagnostizierten Patienten in Deutschland eingesetzt. Aus anekdotischer Evidenz wissen wir von unter Vierjährigen, die bereits auf Agamree eingestellt werden. Im europäischen Ausland und in den USA wird Agamree ebenfalls bereits ab 2 Jahren verschrieben.

Die von uns eingereichte bestverfügbare Evidenz verdeutlicht eine normalisierte Entwicklung gemessen anhand des Bayley-III-Scores. Basierend auf den zuvor genannten Gründen profitieren die jungen Studienpatienten von einer antientzündlichen Behandlung unter 6 Milligramm pro Kilogramm pro Tag Vamorolon. Wir gehen daher von einem erwiesenen medizinischen Zusatznutzen in einer Population aus, für die bislang keine pharmakologische Behandlungsoption bestand. Grundsätzlich muss für eine bestmögliche Krankheitsverzögerung die Therapie erstens früh beginnen, zweitens täglich und drittens in der empfohlenen Dosierung erfolgen. – Damit bedanke ich mich für die Möglichkeit und freue mich auf die Diskussion mit Ihnen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Herr Foerster, für diese Einführung. – Ich beginne mit einer Frage an die Kliniker: Wie sind Ihre bisherigen klinischen Erfahrungen bezüglich der Gabe von Vamorolon bei Patienten im Alter von 2 bis unter 4 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie? Was können Sie aus Ihrer klinischen Erfahrung dazu sagen? Frau Dr. Köhler, bitte.

Frau Dr. Köhler (Neuropädiatrie Universitätskinderklinik Bochum): Ich habe bisher keinen Jungen mit dem Vamorolon behandelt, der jünger als 4 Jahre war, weil es bisher noch nicht zugelassen war. Aber seit wir das Vamorolon als Möglichkeit zur Behandlung haben, habe ich deutlich früher angefangen, aktiv die Jungen zu behandeln. Die offizielle Empfehlung ist ab 4 bis 5 Jahren. Bei den traditionellen Steroiden wusste ich um die Nebenwirkungen und habe deshalb den Beginn der Therapie immer gegen Ende dieses Zeitraums gesetzt, weil in dem Moment des Beginns der Behandlung dieser Wachstumsstopp eintritt.

Seit wir die Möglichkeit haben, mit dem Vamorolon zu behandeln, behandle ich die Patienten proaktiv frühestmöglich. Das war bis vor Kurzem 4 Jahre. Da hat sich im Alltag bereits ein Wandel oder eine Entwicklung gezeigt. Die Erfahrungen sind sehr positiv. Ich kann von uns aus Buchen berichten, dass sich dieser Effekt der fehlenden Wachstumsrestriktion innerhalb kurzer Zeit deutlich zeigt und auch bei Patienten zeigt, die vorher mit den klassischen Steroiden behandelt waren. Das ist definitiv ein großer Vorteil hinsichtlich dieser Nebenwirkung.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Ich habe eine Frage von Frau Teupen.

Frau Teupen: Ich habe eine Frage an den pharmazeutischen Unternehmer, aber auch an Frau Dr. Köhler. Es wurden in der einarmigen Studie aus unserer Sicht wichtige patientenrelevante Endpunkte erhoben: Morbidität, Lebensqualität. Es gibt Kritik an den Erhebungsinstrumenten, dem Bayley-III, dem PARS-III und dem PODCI, dass sie nicht hinreichend valide sind, die Daten und Aussagen nicht für diese Altersgruppe sinnvoll sind oder seien. Vielleicht können Sie dazu etwas aus pharmazeutischer Sicht und aus Ihrer praktischen Erfahrung sagen. Arbeiten Sie mit diesen Instrumenten?

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

Frau Fritzsche (Santhera Pharmaceuticals): Die Endpunkte der Studie wurden in Abstimmung mit dem Pädiatrischen Komitee der EMA gewählt. Wir haben hier die besondere Herausforderung einer sehr jungen Patientenpopulation, für die DMD-spezifische Instrumente in validierter Form nicht vorhanden sind – daher die gewählten Endpunkte, die hier zur Erhebung eingesetzt wurden. Im Wesentlichen stand als Studienziel die Betrachtung der Sicherheit, also Pharmakogenetik, Pharmakodynamik, im Vordergrund. Die Wirksamkeitsergebnisse sollten insbesondere aus der existenten Studie für die älteren Patienten extrapoliert werden.

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

Herr Prof. Hahn (Muskelzentrum Mittel- und Nordhessen/Klinik für Pädiatrische Neurologie, UKGM Gießen): Zu den Bayley Scales: Das ist der Test, den wir am häufigsten zur Beurteilung unter anderem der motorischen Entwicklung bei Säuglingen und Kleinkindern einsetzen. Prinzipiell ist dieser Test okay. Die Kritik war, dass das nur bis dreieinhalb Jahre validiert ist. Ich denke, man kann den Test auch bis 4 Jahre einsetzen. Das ist zwar nicht super toll, aber aus medizinischer Sicht vertretbar. Sicherlich, da muss man der Kritik recht geben, es ist eine kleine Kohorte, die untersucht worden ist. Prinzipiell ist bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie zu erwarten, dass die bis zum Alter von ungefähr dreieinhalb, vier Jahren noch Fortschritte in ihrer motorischen Entwicklung machen, wenn dann die ersten klinischen Symptome auftreten. Insgesamt, würde ich sagen, ist das ein Test, den man anwenden kann. Einen richtig besseren Test, also einen, der deutlich besser ist, hat man in diesem jungen Alter nicht.

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

Frau Teupen: Ja, vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Wunderbar. – Ich hab eine Frage von Frau Hoffmann.

Frau Hoffmann: Wir waren verantwortlich für die Nutzenbewertung und haben zwei Fragen zur Klarstellung, einmal eine Frage direkt zur Grobmotorik-Skala Bayley, zu der wir gerade gesprochen haben. Sie haben mit der Stellungnahme Informationen zum Vorgehen bei der Nutzung der Skala eingereicht. Zum einen haben Sie klargestellt, dass zu Studienbeginn fünf der zehn Kinder dreieinhalb Jahre oder jünger waren. Zum anderen wurde für die Kinder, die älter als dreieinhalb Jahre bzw. 42 Monate waren, als Startzeitpunkt der Testung die Altersgruppe 39 bis 42 Monate verwendet.

Es bleibt uns aber trotzdem unklar, wie das Vorgehen bei der Überprüfung der Rohwerte in die standardisierten Werte erfolgte. Nach Angaben in der zitierten Publikation sei es nicht möglich, die Leistung des Kindes, das älter als zwei Monate ist, mit der von Gleichaltrigen zu vergleichen. Das heißt, für die Kinder über dreieinhalb Jahre gibt es praktisch keine altersentsprechende Vergleichspopulation. Da Sie für alle zehn Kinder die standardisierten Werte berechnet haben, gehen wir allerdings davon aus, dass Sie die Kinder, die älter als dreieinhalb Jahre waren, mit der ältesten verfügbaren Altersgruppe der Normtabelle

verglichen haben, also mit 39 bis 42 Monate alten Kindern. Können Sie dem zustimmen? – Das ist die erste Frage.

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

Frau Fritzsche (Santhera Pharmaceuticals): Ja, dem können wir so zustimmen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Hoffmann, Ihre zweite Frage bitte.

Frau Hoffmann: Ich schließe direkt die zweite Frage an: Sie ist zum Instrument PODCI. Mit der Stellungnahme haben Sie die Subskalen für das Instrument PODCI neu berechnet, sodass die korrigierten Ergebnisse nun in diesem vorgesehenen Wertebereich von 0 bis 100 liegen. Können Sie uns sagen, was Sie da korrigiert haben, damit wir das nachvollziehen können? Das war teilweise über 100. Das fanden wir etwas seltsam. Das konnte nicht so ganz stimmen.

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

Frau Fritzsche (Santhera Pharmaceuticals): Bei der Nutzenwertung haben wir uns die Werte noch einmal angeschaut. Das war ein Transformationsartefakt gewesen. Es ist richtig, die Werte können nicht über 100 annehmen. Deshalb sind wir hier noch einmal in die Ursachenforschung gegangen, und es ist tatsächlich ein rechnerisches Artefakt gewesen.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank.

Frau Hoffmann: Danke.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ich habe noch eine Frage an den pharmazeutischen Unternehmer: Sie haben uns mit Ihrer schriftlichen Stellungnahme Auswertungen von allen verfügbaren Patienten zu den Endpunkten Körpergröße und Körpergewicht aus dem Expanded Access Program über einen Zeitraum von bis zu 30 Monaten vorgelegt. Warum ist hierbei kein Zuschnitt auf die Patienten mit der fachinformationskonformen Dosierung von 6 Milligramm/Kilogramm erfolgt? – Herr Tilmann, bitte.

Herr Dr. Tilmann (Santhera Pharmaceuticals): Dazu nehme ich gerne Stellung: Es ist so, dass die Patienten aus dem Studiensetting in das Expanded Access Programm gegangen sind. Wir haben in der Fachinformation die Möglichkeit, je nach individueller Verträglichkeit zwischen den beiden Dosierungen hin und her zu titrieren. Entsprechend ist es so, dass die Patienten im Rahmen des Expanded Access Programms mehr oder weniger im Real-Life-Setting ein gewisses Dosierungsschema angenommen haben. Das können sowohl Patienten gewesen sein, die vorher 6 Milligramm bekommen haben, als auch Patienten, die 2 Milligramm bekommen haben. Wo sie sich nachher eingependelt haben, ist individuell.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Gibt es weitere Fragen? – Ich sehe keine. Damit sind wir am Ende dieser Anhörung, und Sie hätten seitens des Herstellers die Möglichkeit, abschließend etwas zu sagen. Herr Foerster, bitte.

Herr Foerster (Santhera Pharmaceuticals): Ich laufe Gefahr, mich zu wiederholen. Ich denke, wenn man an den Nutzen einer antientzündlichen Therapie glaubt – und die Datenlage ist dahin gehend – und dieses Konzept, dass die Verzögerung der Krankheitsprogression von der totalen kumulativen Dosis abhängt, dann ist das, wie ich gesagt habe: früh starten, tägliche Gabe und in der empfohlenen Dosierung bleiben. Bei aller Kritik an dieser Studie haben wir gezeigt, dass sich die Entwicklung in diesen sehr jungen Patienten normalisieren kann. Wie gesagt, wir gehen von einem medizinischen Zusatznutzen aus.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, dass Sie alle heute bei der Anhörung waren. Herzlichen Dank für Ihre Expertise, Ihren Sachverstand und Ihre Erläuterungen. Ich wünsche Ihnen noch einen schönen Nachmittag. Herzlichen Dank und auf Wiedersehen.

Schluss der Anhörung: 13:20 Uhr