



Mündliche Anhörung

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

hier: Voretigen Neparvovec (D-803)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 8. August 2022
von 13:44 Uhr bis 14:10 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –



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

Frau Dr. Bucher

Frau Finkes

Frau Dr. Marx

Frau Ohler

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Bayer Vital GmbH**:

Frau Dr. Caruso

Frau El Hadouchi

Angemeldete Teilnehmende der **Deutschen Ophthalmologische Gesellschaft (DOG) -Mitglied der AWMF, Berufsverband der Augenärzte Deutschlands e. V. (BVA), Retinologische Gesellschaft (RG)**:

Herr Prof. Dr. Ziemssen

Herr Dr. Dr. Herrmann

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

Herr Dr. Rasch

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des G-BA. Wir sind 14 Minuten verspätet. Ich bitte um Entschuldigung, aber es hat vorher etwas länger gedauert. Wir sind jetzt in der Anhörung Voretigen Neparvovec in der Indikation Sehverlust aufgrund einer erblichen Netzhautdystrophie. Wir haben es mit einem Orphan und hier konkret mit einer Neubewertung nach Fristablauf zu tun. Basis der heutigen Anhörung ist die Dossierbewertung des Gemeinsamen Bundesausschusses vom 1. Juli 2022, zu der Stellung genommen haben: zum einen Novartis Pharma als pharmazeutischer Unternehmer, Bayer Vital GmbH, die Deutsche Ophthalmologische Gesellschaft, der Berufsverband der Augenärzte Deutschlands und die Retinologische Gesellschaft sowie der Verband der Forschenden Arzneimittelhersteller.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir ein Wortprotokoll führen. Für Novartis Pharma GmbH müssten anwesend sein Frau Dr. Bucher, Frau Finkes, Frau Dr. Marx und Frau Ohler, für die DOG Herr Professor Ziemssen und Herr Dr. Herrmann, für Bayer Vital Frau Dr. Caruso und Frau El Hadouchi und für den vfa Herr Dr. Rasch. Ist noch jemand da, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall. Dann gebe ich zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer die Möglichkeit, einleitend die wesentlichen Punkte zu adressieren. Dann würden wir die Frage-und-Antwort-Runde anschließen. Wer macht das für den pharmazeutischen Unternehmer? – Keiner? Ich höre und sehe niemanden. Der pU ist herausgeflogen. Wir warten auf den pU. – Jetzt kommt Novartis wieder.

(Zuruf: Herr Hecken, Entschuldigung für die Störung.)

Wir haben festgestellt, dass Sie offensichtlich wenig Evidenz und deshalb die Flucht angetreten haben.

(Heiterkeit)

Frau Finkes (Novartis): Ganz im Gegenteil. Entschuldigen Sie die Störung. Wir hatten technische Probleme. Danke. – Sehr geehrter Herr Professor Hecken. Vielmals Entschuldigung von unserer Seite, dass wir gerade mit technischen Problemen zu kämpfen haben. Meine Damen und Herren, vielen Dank für die Einladung zur heutigen Anhörung. In dieser Anhörung geht es zum zweiten Mal um den Wirkstoff Voretigen Neparvovec, im Folgenden Luxturna. Das Anwendungsgebiet ist die erbliche Netzhautdystrophie bei Kindern und Erwachsenen, die auf einer Mutation des Gens RPE65 basiert.

Zunächst möchte ich Ihnen gerne meine Kolleginnen vorstellen: Zu meiner Linken sehen Sie Frau Almuth Marx für die Statistik, zu meiner Rechten Frau Franziska Bucher aus der Medizin und an der Seite Frau Silke Ohler für die gesundheitsökonomischen Fragestellungen. Mein Name ist Monika Finkes. Ich leite den gesundheitsökonomischen Bereich für die Ophthalmologie.

Kurz die Eckdaten: Die RPE65-bedingte Netzhautdystrophie ist eine sehr seltene Erkrankung. Die Patienten haben schon als Kinder Einschränkungen. Bereits bei Volljährigkeit ist mehr als jeder Zweite blind. Bis vor Kurzem gab es für diese Patienten noch keine Therapieoption. Seit 2019 gibt es mit Luxturna für dieses seltene Leiden nun die allererste Therapie. Seitdem konnten 34 Patienten von Luxturna profitieren. Damit sind fast alle prävalenten Patienten behandelt. Diese Netzhautdystrophie ist eine Orphan Disease. Trotzdem konnten wir eine vergleichende Studie vorlegen. Die Ergebnisse waren dabei so positiv, dass Luxturna im ersten Verfahren 2019 durch den G-BA einen beträchtlichen Zusatznutzen zugesprochen bekam – ganz klar durch die erheblichen Verbesserungen in den bedeutenden Morbiditätsendpunkten für die Sehfähigkeit.

Warum sind wir heute hier? Luxturna ist eine neue Gentherapie. Das gab es in dieser Form noch nie. Es ist klar, dass noch Fragen offen blieben. Erstens: Ist das einmalig in die Netzhaut eingebrachte Medikament auch auf Dauer wirksam? Zweitens: Ist die einmalige Injektion für die Patienten langfristig sicher? Sie haben sich dazu Langzeitdaten gewünscht. Die haben wir in diesem zweiten Nutzenbewertungsverfahren jetzt vorgelegt. In diesen Langzeitdaten sehen wir Ergebnisse zu Wirksamkeit und Sicherheit von Patienten, die bis zu sieben Jahre lang nachbeobachtet wurden. Was zeigen uns diese Langzeitdaten erstens zur Wirksamkeit? Die langfristige Beobachtung zeigt: Die deutliche Verbesserung in den patientenrelevanten Endpunkten bleibt stabil. Das betrifft die Sehschärfe, die Lichtempfindlichkeit und das Gesichtsfeld und dadurch auch die Orientierung und die Lebensqualität. Luxturna ist auf lange Frist wirksam. Nicht zu vergessen: Es wird nur einmalig geben.

Zu unserer zweiten Frage, der Sicherheit: Die Patienten können sich nach einer Luxturna-Behandlung darauf verlassen, dass Sicherheit und Verträglichkeit auch langfristig hoch sind. Also insgesamt: Luxturna bleibt hochwirksam und ist langfristig sicher und verträglich.

Grundlage für die Ableitung des Zusatznutzens sind wie im ersten Verfahren 2019 die sehr guten Ergebnisse der Studie 301, einer vergleichenden Studie. Die Langzeitdaten zur Wirksamkeit und Sicherheit bestätigen die patientenrelevante Verbesserung von Luxturna aus dem ersten Verfahren.

Was erreicht Luxturna? Die langfristige Freiheit von schwerwiegenden Symptomen. Das ist die Definition, mit der ein erheblicher Zusatznutzen beschrieben wird. Wenn wir hier alle Ergebnisse ansehen, dann reden wir über einen erheblichen Zusatznutzen. – Vielen Dank. Jetzt freuen wir uns auf die Diskussion mit Ihnen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Finkes, für diese Einführung. – Ich will sofort Herrn Ziemssen und Herrn Herrmann fragen. Wir haben die Daten alle gelesen. Wir kennen die 301-Studie. Die entscheidende Frage ist die, die in der Befristung adressiert war: Wie schätzen Sie die Nachhaltigkeit der Wirksamkeit von Voretigen Neparvovec ein? Dazu hat Frau Finkes gerade Stellung genommen. Nach meiner Wahrnehmung sehen wir in Abweichung von dem, was in der 301-Studie gezeigt wurde, sowohl was Langzeitwirksamkeit als auch Langzeitsicherheit angeht, wenig, durch das die ursprüngliche Bewertung in irgendeiner Form zu revidieren geeignet wäre. Aber wie gesagt: Ich bin nicht der Experte, deshalb die Frage an Sie beide als Kliniker. Sind durch das, was wir jetzt an Befristungsdaten gesehen haben, die Langzeitwirksamkeit und die Langzeitsicherheit gestützt und belegt worden? – Herr Ziemssen und Herr Herrmann.

Herr Prof. Dr. Ziemssen (DOG): Ich denke, was die sinnesphysiologische Veränderung und den Gewinn der Patienten angeht, kann man klar sagen: Es ist erfreulich, dass dieser Gewinn und diese funktionelle Verbesserung über die Jahre erhalten bleiben. Wo man vielleicht ein kleines Fragezeichen machen muss, sind diskrete Veränderungen. Wir sehen morphologische Veränderungen, von denen man nicht genau weiß, gerade wenn es junge Patienten sind, was in zehn, 20 Jahren daraus wird. Das zeigt uns ein wenig demütig, dass wir noch nicht alles bei dieser Therapie verstehen, dass wir die Mechanismen dieser milden morphologischen Veränderungen noch nicht ganz sehen, die im Laufe der Zeit zunehmen können. Aber ich denke, dass der Gewinn insgesamt überwiegt. Ich gebe die Einschätzung gern an Herrn Herrmann weiter, der das vielleicht von seiner täglichen Arbeit mit diesen Patienten mit tapetoretinalen Degenerationen noch ein wenig differenzierter berichten kann.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Professor Ziemssen. – Herr Herrmann, bitte.

Herr Dr. Herrmann (DOG): Herr Professor Ziemssen, ich schließe mich Ihren Worten direkt an. Bei den 19 Patienten, die an unserem Zentrum behandelt wurden, und im Überblick über die Literatur ist es erfreulich, dass wir bisher auch nach Jahren keine Abnahme dieses Effektes gesehen haben. Natürlich sind es begrenzte Zeiträume. Das ist bei einem neuen Medikament

ganz klar. Aber wir sehen nicht, dass dieser Effekt ausgewaschen wird oder irgendwo abnimmt. Natürlich ist es eine Situation, in der wir schwerstkranke Patienten haben, denen grundsätzlich Erblindung droht und für die es nichts gab. In so einer Situation ist es für uns als Kliniker toll, das zur Verfügung zu haben. Die diskreten Veränderungen und kleineren Entwicklungen von Atrophien, die Sie ansprachen, haben wir auch beobachtet. In dem Beobachtungszeitraum, den wir haben, ist es so, dass wir dadurch keine funktionellen Beeinträchtigungen erkennen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Wobei, das sagt Herr Ziemssen, man weiß nicht, wie es sich à la longue entwickelt. Ganz herzlichen Dank. – Frau Rissling FB Med, bitte.

Frau Dr. Rissling: Wir haben konkrete Fragen zum Studiendesign an den pharmazeutischen Unternehmer. Es geht um die Sicherheitsendpunkte. Das betrifft sowohl die Studie 301 als auch die Verlängerungsstudie. Es geht um die Schweregradeinteilung. Es gibt zwei unterschiedliche Schweregradeinteilungen in Modul 4, einmal die a priori definierte, individuelle Schweregradeinteilung, die sich auch im Studienbericht findet. Im Modul 4 im aktuellen Dossier haben Sie noch einmal UE Schweregrad ≥ 3 nach SOC und PT dargestellt. Uns ist nach wie vor nicht klar, wie die Klassifizierung erfolgte und inwieweit beide Schweregradeinteilungen vielleicht miteinander im Zusammenhang stehen. – Das ist die eine Frage.

Die zweite Frage betrifft die LTFU-Studie. Hier ist uns auch noch nicht klar, ob eine vollständige Erhebung der unerwünschten Ereignisse für den gesamten Beobachtungszeitraum bis zum Datenschnitt stattfand. So wird im SAP berichtet, dass eine vollständige Erhebung nur bis Jahr 1 nach Injektion vorgesehen war und danach nur noch bestimmte UE im Case Report Form dokumentiert werden sollten. Deshalb noch einmal die Frage: Inwieweit kann man davon ausgehen, dass trotzdem in Modul 4 oder im Studienbericht die dargestellten UE vollständig sind oder ob doch nur bestimmte UE nach Jahr 1 berichtet wurden?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Rissling. Wer macht das für den pU? – Frau Marx, bitte.

Frau Dr. Marx (Novartis): Frau Rissling, ich kann verstehen, dass das mit diesen Schweregradeinteilungen ein wenig für Verwirrung gesorgt hat. Wir hatten es in dieser Studie deshalb mit einer Besonderheit zu tun, dass nicht nur die gewöhnliche Einteilung in schwere, moderate und leichte Ereignisse erfolgt ist, wie man das aus anderen Studien kennt, sondern man hat sich nach dem Motto, zwei Einteilungen sind besser als nur eine, entschieden, zusätzlich die WHO Toxicity Grades zu verwenden. Diese letztere Einteilung war allerdings für den Arzt optional. Aber beides wurde im Rahmen dieser UE-Erhebung durch den Arzt erfasst. Wir wollten im Dossier größtmögliche Transparenz schaffen und haben uns deshalb entschieden, jeweils beides darzustellen. Wir haben sowohl die schweren Ereignisse berichtet, als auch die Ereignisse mit einem WHO Schweregrad ≥ 3 . Das Ergebnis ist von der Sache bei beiden gleich. Es ist kein Nachteil für die Luxturna-Patienten erkennbar.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Frau Rissling, beantwortet das Ihre Frage?

Frau Dr. Rissling: Ich habe dazu noch eine andere Frage, wenn Sie sagen, es wurde vom Arzt nur optional auf der Toxizitätsskala ausgefüllt. Wie vollständig ist die Erfassung oder die Erhebung dieses Schweregrades im Vergleich zu der Schweregradeinteilung, die im Studienprotokoll beschrieben worden ist?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Frau Marx, bitte.

Frau Dr. Marx (Novartis): Entschuldigung, die Frage habe ich nicht genau verstanden. Wollten Sie wissen, welche der beiden nicht vollständig ist, oder geht es darum, wie vollständig?

Frau Dr. Rissling: Nein. Sie meinten, dass der Prüfarzt optional diese Toxizitätsskala anwenden konnte.

Frau Dr. Marx (Novartis): Genau.

Frau Dr. Rissling: Meine Frage zielt darauf ab: Was heißt optional im Vergleich zu dieser anderen Schweregradeinteilung? Wurden alle UE vollständig damit bewertet, oder wie kann man sich das genau vorstellen?

Frau Dr. Marx (Novartis): Wir haben für alle UE diese Einteilung in schwer, moderat und leicht und für ungefähr zwei Drittel aller UE zusätzlich noch den Toxicity Grade.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Okay, Frau Rissling?

Frau Dr. Rissling: Ich hatte noch die Frage zu der vollständigen Erhebung der UE in der Langzeitbeobachtungsstudie ab Jahr 1. Inwieweit sind ab Jahr 1 nach Injektion die UE vollständig erfasst oder dokumentiert worden?

Frau Dr. Bucher (Novartis): Das ist ein wichtiges Thema. Die Sicherheit wurde im Rahmen der Zulassung vollständig geprüft. Die Daten sind im Dossier transparent dargestellt. Diese Daten konnten generell in vier weiteren Kategorien erhoben werden. Das waren zum einen die schweren unerwünschten Ereignisse, die unerwünschten Ereignisse im Zusammenhang mit Luxturna und weitere Ereignisse, zum Beispiel Entwicklung onkologischer, hämatologischer, neurologischer und Autoimmunerkrankungen. Darüber hinaus gab es noch eine Kategorie, die alle Ereignisse erfasste, die besonders gehäuft vorkommen. Es konnte weiterhin alles erhoben werden. Da blieb nichts verborgen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Dr. Bucher. – Frau Rissling.

Frau Dr. Rissling: Ich habe trotzdem die Nachfrage: Kann man davon ausgehen, dass die Erhebung ab Jahr 1 mit der Erhebung bis Jahr 1 vergleichbar war? Ist es eine vollständige Erfassung der UE, oder muss man damit rechnen, dass ab Jahr 1 nicht alle UE dokumentiert oder erfasst worden sind?

Frau Dr. Bucher (Novartis): In diesen Kategorien ist es eine absolut vollständige Erhebung. Das umfasst alles. Es gab keinen Unterschied.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. Okay Frau Rissling? – Okay. – Frau Göppel, GKV-SV.

Frau Göppel: Vielen Dank. – Ich habe eine Frage an die Kliniker: Die Voraussetzung für die Behandlung mit Luxturna ist das Vorhandensein ausreichend lebensfähiger Zellen. Bei wie vielen Patienten tritt es auf, dass zum Zeitpunkt der Diagnosestellung nicht ausreichend lebensfähige Zellen vorliegen, und wie wird das in der Praxis festgestellt?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Frau Göppel. Wer möchte dazu etwas sagen? – Herr Herrmann.

Herr Dr. Herrmann (DOG): Das ist auch ein wissenschaftlich immer wieder diskutierter Punkt, den Sie ansprechen. Im Grunde ist es so: Sie brauchen Zellen, die leben und funktionieren, damit Sie diese Zellen behandeln können. Aber es ist schwer zu sagen, wie viele Sie brauchen. In der Praxis ist es so, dass es mit dem Lebensalter korreliert. Es gibt viele junge Patienten, bei denen wir bildmorphologisch sehen, dass Zellen da sind, die auch zu behandeln sind. Es werden bis in die vierte Dekade hinein immer weniger. Es gab Patienten, die schon älter und komplett erblindet waren. Die kann man nicht behandeln. Das geht nicht. Aber es gibt sicherlich einen Bereich, der nicht scharf definiert ist, weil sich lebende Zellen im Auge nicht markieren lassen. Es liegt im Augenmaß des Arztes, einzuschätzen, ob die Therapie funktioniert. Aber im Regelfall ist das nicht nötig.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Dr. Herrmann. – Ergänzungen, Herr Ziemssen?

Herr Prof. Dr. Ziemssen (DOG): Im Wesentlichen ist das korrekt. Wir nutzen dazu die optische Kohärenztomographie und versuchen, abzuschätzen, inwieweit die zentraleren Bereiche der Netzhaut, die für ein besseres Sehen notwendig sind, eine fortgeschrittene Atrophie zeigen. Eine quantitative Zahl, dass man sagt, so und so viele Kandidaten hat man untersucht oder die

Behandlung diskutiert und wie viele man von denen behandelt hat, ist, glaube ich, schwer einzuordnen. Ich glaube, dass es eine Patientenzahl mindestens über das Doppelte oder das Dreifache mit einem entsprechenden Gennachweis gibt, die letzten Endes nicht behandelt wurden.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Ziemssen. – Frau Göppel, ist die Frage beantwortet?

Frau Göppel: Ja. Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Dann Frau Ahrens von der KBV.

Frau Dr. Ahrens: Vielen Dank. – Ich habe eine Anschlussfrage an den Themenkomplex gerade: Wann wird der Hauptteil der Patienten auffällig? Ich glaube, Sie haben es gerade angesprochen, aber vielleicht könnten Sie noch einmal deutlicher werden, wie viele Patienten tatsächlich in diesen Graubereich hineinfließen, ob man die Therapie noch anwendet oder nicht.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Wer kann dazu etwas sagen? – Herr Dr. Herrmann.

Herr Dr. Herrmann (DOG): Es ist eine progressive Erkrankung, die im Kindesalter symptomatisch wird. Es ist ziemlich klar, dass keiner der Patienten mit dieser biallelischen RPE65-Mutation unter zehn Jahren nicht symptomatisch wäre. Das ist klar. Dann ist es, wie diese Netzhautdystrophien alle, eine langsam voranschreitende, zur Erblindung führende Erkrankung. Da ist es individuell sicherlich unterschiedlich. Es gibt Patienten, die mit 20 Jahren vielleicht noch relativ gut dastehen, und es gibt Patienten, die mit Mitte 20 relativ schlecht dastehen. Das hängt auch von den Mutationen ab, welche Varianten auf jedem Allel liegen. Aber es ist definitiv an das Alter korreliert. Es macht allerdings keinen Sinn, eine Altersgrenze zu ziehen, sondern es ist ein fließender Übergang. Das sieht man bei anderen Erkrankungen auch. Es fügt sich ganz typisch ins Spektrum ein.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Dr. Herrmann. – Herr Ziemssen, Ergänzungen?

Herr Prof. Dr. Ziemssen (DOG): Es gibt Hinweise darauf – es ist angesichts der kleinen Fallzahlen zu früh, zu sagen –, dass diese kleinen Anzeichen an Toxizität oder Veränderungen nicht so ausgeprägt sind, wenn man gerade die jüngeren Patienten behandelt. Das zeigt rückblickend, dass wir in Deutschland sehr gut damit gefahren sind, uns selbst relativ strenge Regeln der Qualitätssicherung und der strikten Patientenauswahl zu setzen. Das ist auf der einen Seite die Verantwortung angesichts der nicht unerheblichen Kosten, aber es ist auf der anderen Seite auch das, was sich für die einzelnen Patienten bewährt hat. Es scheint nicht so zu sein, dass es eine immunologische Komponente allein ist, dass man sagt, es ist eine gerichtete Reaktion gegen den Vektor oder dass die Injektion des Streams in den subretinalen Raum eine mechanische Problematik ist, sondern wahrscheinlich spielt dort die aufgrund der Erkrankung veränderte Netzhaut und Pathologie eine Rolle, dass man diese leichten Veränderungen der Pigmentepithelatrophie eher bei den älteren Patienten nach der Behandlung beobachtet.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Herr Professor Ziemssen. – Frau Ahrens, ist die Frage beantwortet oder Nachfrage?

Frau Dr. Ahrens: Ich habe eine Nachfrage: Wenn die Patienten relativ früh auffällig werden, ist es dann so, dass es zukünftig immer einfacher wird, die Patienten zu einem idealen Zeitpunkt zu behandeln, weil die Therapie jetzt zur Verfügung steht?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Herr Herrmann.

Herr Dr. Herrmann (DOG): Ja, genau. Langfristig ist davon auszugehen, dass diese Patienten im Kindesalter auffallen und diagnostiziert werden können. Ich schließe mich dem an, dass es die bessere Behandlung zu sein scheint, je früher man beginnt, weil die morphologischen und

strukturellen biochemischen Veränderungen im Pigmentepithel auf die Lebenszeit immer weiter akkumulieren und zunehmen, die Zelle quasi immer näher an den eigenen Tod rückt.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Herr Ziemssen.

Herr Prof. Dr. Ziemssen (DOG): Das ist ganz klar. Ich habe im Interesse der Zeit keine Ergänzungen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Okay. – Frau Ahrens.

Frau Dr. Ahrens: Ja, vielen Dank. Das waren alle Fragen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Gibt es weitere Fragen? – Das sehe ich nicht. Dann gebe ich dem pU noch einmal die Möglichkeit, aus einer Sicht zusammenzufassen. Wer macht das? – Frau Finkes, bitte.

Frau Finkes (Novartis): Lieber Herr Professor Hecken! Meine Damen und Herren! Vielen Dank für die gute Diskussion. Wir haben heute erneut über diese sehr seltene Erkrankung gesprochen. Wir wissen, dass diese Erkrankung nach und nach das Sehvermögen zerstört, die Orientierung und damit auch das alltägliche Leben der betroffenen Patienten. Die einzige Behandlungsmöglichkeit für diese Patienten ist und bleibt Luxturna. Seit der Einführung von Luxturna konnten bereits die meisten diagnostizierten Patienten in Deutschland, 34 bisher, damit behandelt werden. Die Langzeitdaten zeigen uns, dass nach der einmaligen Anwendung von Luxturna die Wirkung langfristig erhalten und die Sicherheit langfristig stabil bleibt. Luxturna führt zu einer langfristigen Freiheit von schwerwiegenden Symptomen, das heißt, zu einem erheblichen Zusatznutzen. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, dass Sie uns Rede und Antwort gestanden haben. Danke auch an die beiden klinischen Experten. Wir können diese Anhörung beenden, werden selbstverständlich wägen, was hier diskutiert worden ist. Ich wünsche Ihnen einen schönen Resttag. Danke schön.

Schluss der Anhörung: 14:10 Uhr