

Mündliche Anhörung



Gemeinsamer
Bundesausschuss

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

hier: Wirkstoff Emicizumab (D-912)

Videokonferenz des Gemeinsamen Bundesausschusses

am 10. Juli 2023

von 11:00 Uhr bis 11:25 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Roche Pharma AG (Roche)**:

Frau Dr. Bayer
Herr Dr. Flacke
Herr Dr. Masoudi

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Bayer Vital GmbH (Bayer)**:

Frau Dr. Caruso
Frau Endlich Hadouchi

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Swedish Orphan Biovitrum GmbH (Swedish Orphan)**:

Frau Dr. Nickel
Herr Hohmann

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Pfizer Pharma GmbH (Pfizer)**:

Herr Dr. Rauchensteiner
Frau Dr. Herrmann

Angemeldete Teilnehmende für die Firma **Novo Nordisk Pharma GmbH (Novo Nordisk)**:

Herr Dr. Meyer
Herr Dr. Kiencke

Angemeldete Teilnehmende für die **Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie e. V. (DGHO)**:

Herr Prof. Dr. Wörmann

Angemeldete Teilnehmende für die **Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung e. V. (GTH)**:

Herr PD Dr. Klamroth

Angemeldeter Teilnehmender für den **Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)**:

Herr Dr. Wilken

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

Herr Dr. Rasch



Beginn der Anhörung: 11:00 Uhr

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses. Es ist wieder Montag und Anhörungstag. Wir sind jetzt bei Emicizumab, angewandt zur Routineprophylaxe bei Hämophilie A ohne Faktor-VIII-Hemmkörper.

Wir haben es mit einem neuen Anwendungsgebiet zu tun. Basis der heutigen Anhörung ist die Dossierbewertung des IQWiG zum Dossier des pharmazeutischen Unternehmens. Die Dossierbewertung datiert vom 26. Mai 2023. Zum einen hat dazu der betroffene pharmazeutische Unternehmer Roche Pharma Stellung genommen; zum anderen haben die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie sowie die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung dazu Stellung genommen, ferner Bayer Vital, Novo Nordisk, Pfizer Pharma, Swedish Orphan Biovitrum, Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG, außerdem der Verband Forschender Arzneimittelhersteller und der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, weil wir auch heute wieder Wortprotokoll führen. Für Roche Pharma, also für den pharmazeutischen Unternehmer, sind Frau Dr. Bayer, Herr Dr. Flacke und Herr Dr. Masoudi zugeschaltet. Für die DGHO ist Herr Professor Wörmann zugeschaltet, für die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung Herr Privatdozent Dr. Klamroth und für den vfa Herr Dr. Rasch. Außerdem ist für den BPI Herr Dr. Wilken zugeschaltet. Für Bayer Vital sind Frau Dr. Caruso und Frau El Hadouchi zugeschaltet. Zudem sind Frau Dr. Nickel und Herr Hohmann für Swedish Orphan zugeschaltet, ebenso Herr Dr. Rauchensteiner und Frau Dr. Herrmann für Pfizer und Herr Dr. Kiencke für Novo. – Herr Dr. Meyer für Novo, sind Sie eingewählt?

(Herr Dr. Kiencke (Novo Nordisk): Nein, der ist nicht da!)

– Ja, da fehlte nämlich auch die Offenlegungserklärung. Okay. – Ist sonst noch jemand da, der nicht aufgerufen wurde? – Niemand.

Jetzt gebe ich dem pharmazeutischen Unternehmer die Gelegenheit zur Einführung, und dann machen wir unsere übliche Frage-und-Antwort-Runde. – Frau Bayer.

Frau Dr. Bayer (Roche): Sehr geehrter Herr Professor Hecken, sehr geehrte Damen und Herren! Bevor ich auf die aus unserer Sicht wichtigsten Aspekte zur Indikationserweiterung von Emicizumab eingehe, möchte ich meinen Kollegen die Möglichkeit geben, sich kurz vorzustellen, wenn das für Sie in Ordnung ist.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, klar.

Herr Dr. Masoudi (Roche): Guten Tag! Mein Name ist Ehsan Masoudi; ich bin der verantwortliche Statistiker für das Dossier.

Herr Dr. Flacke (Roche): Guten Morgen! Mein Name ist Jan-Paul Flacke. Ich verantworte die medizinischen Inhalte für dieses Nutzendossier und Verfahren.

Frau Dr. Bayer (Roche): Guten Morgen auch noch einmal von meiner Seite. Mein Name ist Hanna Bayer. Ich bin HTA-Managerin bei der Roche Pharma AG und für die Nutzenbewertung in der Hämophilie verantwortlich.

Mit der heutigen Anhörung zu Emicizumab findet erstmals eine Nutzenbewertung für das Anwendungsgebiet „Mittelschwere Hämophilie A mit schwerem Blutungsphänotyp ohne Faktor-VIII-Hemmkörper“ statt. In der Hämophilie findet anhand der Aktivität des endogenen Faktors VIII eine Einteilung in die drei Schweregrade schwer, mittelschwer und leicht statt.

In diesem Verfahren geht es um eine sehr spezifische Patientengruppe, die aufgrund ihrer Faktor-VIII-Aktivität von 1 bis 5 Prozent zur Gruppe der mittelschweren Hämophilie A gehört, die allerdings ein sehr auffälliges, nicht vorhersehbares Blutungsprofil zeigt. Klinisch zeichnen sich diese Patienten durch häufige Blutungen, Blutungen mit Gelenkmanifestationen oder sogar lebensbedrohliche Blutungen mit entsprechend hohem Verbrauch an Faktor-VIII-Bedarfsmedikation aus. Aufgrund des schweren Blutungsphänotyps stellt der Arzt die Indikation für eine dauerhafte Therapie zur Prävention von Blutungsereignissen, zur sogenannten Routineprophylaxe. Die bereits verfügbare Routineprophylaxe besteht in einer intravenösen Faktor-VIII-Gabe. Im Gegensatz zu Patienten mit schwerer Hämophilie A haben Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A häufig weniger Erfahrung mit der intravenösen Heimselbstbehandlung. Diese Patienten mussten nicht bereits als Kinder lernen, sich selbst zu behandeln und eine adhärenztherapie trotz der Herausforderungen des Alltags sicherzustellen.

Emicizumab ist seit 2018 fest etabliert in der Hämophilie A, und dies mit hohem Stellenwert für die Versorgung. Es handelt sich um einen bispezifischen Antikörper, der die physiologische Blutgerinnungskaskade ohne Faktor-VIII-Gabe wiederherstellt. Weltweit wurden bisher über 20.000 Patienten mit Emicizumab therapiert. Sie profitieren von einem guten Blutungsschutz, der langen Halbwertszeit und der subkutanen Gabe. Die bereits vorhandene Evidenz zu Emicizumab wird jetzt um Daten zur mittelschweren Hämophilie A ergänzt.

Die HAVEN 6 ist die erste Zulassungsstudie, in der Patienten mit diesem speziellen Phänotyp systematisch untersucht wurden. Emicizumab wurde hier als Monotherapie untersucht. Unter Emicizumab-Therapie profitieren die Patienten von der guten Blutungskontrolle. Zwei Drittel der Patienten wiesen keine behandlungsbedürftigen und über 90 Prozent keine Gelenkblutungen auf. Die HAVEN 6 bestätigt außerdem das sehr gute Sicherheitsprofil von Emicizumab aus über acht Jahren klinischer Erfahrung. Die Patienten schätzen an der subkutanen Darreichungsform von Emicizumab insbesondere die vereinfachte Verabreichung, die kürzere Applikationszeit und die geringere Behandlungshäufigkeit.

Mit der IQWiG-Nutzenbewertung wurde auch der Entwurf zur Liste der Kombinationstherapien gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V veröffentlicht. Gemäß diesem Paragraf benennt der Gemeinsame Bundesausschuss die möglichen Kombinationstherapien anhand der vorliegenden arzneimittelrechtlichen Zulassung. Es dürfen also nur Arzneimittel als mögliche Kombinationspartner benannt werden, für die der Wortlaut der Fachinformation explizit eine konkrete Kombination erlaubt. Sowohl Emicizumab als auch die als Kombinationspartner genannten Substanzen wurden jedoch jeweils einzeln klinisch geprüft und somit auch einzeln für die Routineprophylaxe zugelassen. Außerdem wird der anerkannte Stand der medizinischen Erkenntnisse nicht berücksichtigt.

Emicizumab kommt als alleinige Routineprophylaxe zur Anwendung. Faktor-VIII-Präparate werden nur im Falle von behandlungsbedürftigen Blutungen zur kurzfristigen Eskalation ergänzend eingesetzt. Das entspricht somit keiner Kombinationstherapie im Sinne der arzneimittelrechtlichen Zulassung, und daher sind für Emicizumab keine Kombinationstherapien zu benennen.

Zusammenfassend lässt sich sagen: Mit der HAVEN 6 gibt es erstmals Evidenz in dieser spezifischen Population mit dem Nachweis von Wirksamkeit und Sicherheit. Zwei Drittel der Patienten haben keine behandlungsbedürftigen Blutungen, 90 Prozent keine Gelenkblutungen. Patienten schätzen die subkutane, einfache Darreichungsform. Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A mit schwerem Blutungsphänotyp haben mit der Zulassung von Emicizumab in dieser speziellen Indikation die Möglichkeit für eine weitere relevante Therapieoption mit einem verlässlichen Blutungsschutz. – Wir freuen uns auf die Diskussion.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ganz herzlichen Dank, Frau Bayer, für diese Einführung. – Zu den Kombinationen nur so viel: Wir sind nach den gesetzlichen Vorschriften gehalten,

potenzielle Kombinationen auch in den Fällen zu benennen, in denen es keine unmittelbar Bezug nehmende Zulassung der beiden oder potenzieller Kombinationspartner aufeinander gibt. Nach Auffassung der Rechtsaufsicht ist in all den Fällen, in denen eine Zulassung nicht ausdrücklich als Monotherapie erfolgt ist, eben potenziell eine Kombination möglich. Ob sie am Ende des Tages dann sinnvoll ist, ist eine ganz andere Frage, die dann diskutiert werden muss, wenn die Abgabe erfolgt, wobei man dann gucken muss: Ist das jetzt gleiches Anwendungsgebiet, und ist das eben dann im Einzelfall angezeigt?

Wir hatten hier am Anfang eine sehr enge Spruchpraxis, die sehr nah an dem war, was Frau Dr. Bayer jetzt eben auch beschrieben hat. Wir hatten uns auf Bezug nehmende Zulassungen fokussiert, sind hier aber zwischenzeitlich rechtlich eines Besseren – ob es besser ist, weiß ich nicht – oder aber insoweit belehrt worden, als dass wir hier eine sehr weite Betrachtung anstellen, die nicht auf die Sinnhaftigkeit einer Kombination im Einzelfall abstellt. – Dies nur zu dem Punkt, den Sie am Schluss erwähnt haben und den wir hier wahrscheinlich auch nicht vertieft diskutieren.

Meine erste Frage geht an Herrn Wörmann und an Herrn Klamroth. Wir haben es gerade von Frau Bayer gehört, aber Sie haben auch in Ihrer gemeinsamen Stellungnahme dazu ausgeführt. Trotzdem hätte ich es gerne noch einmal fürs Protokoll: Wie sehen Sie den Stellenwert von Standard-Faktor-VIII-Präparaten im Vergleich zu den Faktor-VIII-Präparaten mit verlängerter Halbwertszeit? Wie gesagt, das ist redundant, weil es schon in Ihren Stellungnahmen sehr breit ausgeführt worden ist, aber trotzdem noch einmal fürs Protokoll. – Herr Professor Wörmann.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Dann fange ich an mit der allgemeinen Einführung, die ich explizit nochmals vortrage, auch wenn ich weiß, dass es Ärger macht. Ganz grundsätzlich ist es weiterhin höchst ärgerlich, dass es hier keine randomisierte Studie gibt. Gerade eben bin ich ein bisschen zusammengezuckt, als ich gehört habe, dass 20.000 Patienten weltweit mit Emicizumab behandelt werden. Angesichts dessen kann ich mir schlecht vorstellen, dass es nicht zumindest denkbar wäre, eine randomisierte Studie durchzuführen, auch wenn hier 72 Patienten eingeschlossen wurden.

Ich sage das, natürlich wissend, dass es dafür in diesem Fachgebiet keine Tradition gibt. Trotzdem, finde ich, steht es uns an, das regelmäßig zu sagen, weil wir in diesem Falle natürlich gern wüssten, ob es einen Zusatznutzen gegenüber einer halbwegszeitverlängerten Faktor-VIII-Präparation gibt, die in den letzten Jahren deutlich komfortabler geworden ist, gute Akzeptanz bei Patienten gefunden hat und deswegen nach unserer Meinung durchaus für eine Randomisierung infrage gekommen wäre. – So, das wäre die Schimpferei vorher.

Ja, es ist ganz offensichtlich eine hochwirksame Substanz. Die annualisierten Blutungsraten dazu hatten wir aufgeführt; sie sind ausgesprochen niedrig. Dann würde ich mir erlauben, jetzt an denjenigen zu übergeben, der die Patienten wirklich betreut, nämlich an Herrn Klamroth, um noch mal deutlich das Loblied aus Behandler Sicht zu singen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, Herr Klamroth, jetzt müssen Sie aber alles geben, wenn Sie noch singen müssen. – Bitte schön, Herr Dr. Klamroth.

Herr PD Dr. Klamroth (GTH): Ja, Emicizumab ist bei dieser Indikation wirksam. Ich würde vielleicht noch einmal für das Verständnis erklären wollen, dass Patienten mit einer mittelschweren Hämophilie A und einem schweren Blutungstyp auch schon vorher mit Prophylaxe behandelt worden sind, dann aber mit der üblichen Faktorkonzentratbehandlung und zunehmend auch mit verlängerter Halbwertszeit mit Faktor-VIII-Präparaten.

Wir wissen eigentlich, dass diese Patienten am Ende, obwohl der Faktor VIII nominal ja vorhanden ist und nicht wie bei der schweren Hämophilie komplett fehlt, genauso schlecht dran sein können wie Patienten mit einer schweren Hämophilie A und die Prophylaxe da durchaus sinnvoll ist. Beide Prophylaxen sind effektiv, sowohl die Faktorprophylaxe als auch

das Emicizumab. Wegen der subkutanen Gabe hat Emicizumab den Vorteil – das will ich gelten lassen –, bei den Patienten, die in manchen Fällen nicht von Beginn an an die Prophylaxe herangeführt worden sind und bei denen es doch eine gewisse Zeit dauert, bis sie die i.v.-Selbstinjektion erlernen, einen konstanteren Schutz zu bieten.

Ansonsten können wir meines Erachtens das Ergebnis der Besprechung zur schweren Hämophilie A bei Hämophilie-A-Patienten mit Nichtinhibitor analog auf diese Patientengruppe übertragen, weil der schwere Blutungsphänotyp praktisch die gleiche Blutungshäufigkeit impliziert.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Fragen, bitte! – Herr Schepperle, Patientenvertretung, bitte.

Herr Schepperle: Aus Sicht der Patientenvertretung und der Betroffenen würde ich da gerne noch hinzufügen, dass auch wir Rückmeldungen von Patienten mit der mittelschweren Hämophilie haben, die einen deutlichen Vorteil sehen, wenn sie quasi auf ein subkutanes Präparat zurückgehen können, weil eben die Behandlung mit i.v.-Präparaten deutlich schwieriger ist.

Ich möchte hier auch anmerken, dass dann aufgrund des Blutungsschutzes, den dieses Präparat voraussichtlich hat, auch die Spätfolgen geringer ausfallen als bei i.v.-Produkten, die nur on demand gegeben werden können. Das sind auch die Rückmeldungen, die wir von Patienten, von Betroffenen und vor allem von jungen Familien haben, die eben die mittelschwere Hämophilie haben.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Schepperle, für diese Anmerkung; es war ja keine Frage. – Fragen, bitte! – Es sieht dürftig aus. – Herr Rasch, vfa.

Herr Dr. Rasch (vfa): Ich müsste doch noch mal zu der Kombinationsbenennung Stellung nehmen.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, klar; geben Sie es zu Protokoll.

Herr Dr. Rasch (vfa): Wie gesagt, aus unserer Sicht sind diese sogenannten offenen Kombinationen, wie der G-BA das momentan bezeichnet, rein fiktiv, und sie widersprechen eben gerade der Zulassung. Die Anwendung des Prinzips, wonach alles zugelassen ist, solange es nicht explizit verboten ist, ist wirklich überraschend, und es widerspricht aus unserer Sicht dem Prinzip der arzneimittelrechtlichen Zulassung. Es ist nämlich genau das Gegenteil dessen – so war das bislang immer –, dass eine Zulassung doch eigentlich immer eine positive Erlaubnis vorsieht. Sonst bräuchte es ja auch keine Off-Label-Kommission etc.

Außerdem wird damit aus unserer Sicht die Möglichkeit der Befreiung total ausgehebelt. Das heißt, diese angebliche Kombination ist ja gar nicht Teil der Zulassung; sie wäre also auch gar nicht AMNOG-fähig, sollte der G-BA sie auf mindestens beträchtlichen Zusatznutzen untersuchen wollen. Das heißt sich aus unserer Sicht.

Ja, es ist auch bedauerlich, dass jetzt durch den Verzicht auf die Prüfung des anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse solche Benennungen zu einem Teil auch einfach medizinisch höchst unplausibel sind. Das ist einfach bedauerlich, denn die G-BA-Beschlüsse sollten solche unplausiblen Angaben einfach nicht enthalten. Das sind dann nicht alle, aber für manche ist das einfach hochgradig unplausibel, und das wäre sehr bedauerlich.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön, Herr Rasch. Da gibt es doch eine schöne Aufgabe für Ihren Verband, dies in weiteren Gesetzgebungsverfahren dann eben klarzustellen. Dass eine Zulassung, die nicht ausdrücklich als Monotherapie eben die Anwendung eines Arzneimittels impliziert, andere Kombinationen oder Kombinationen mit anderen Arzneimitteln ausdrücklich ausschließen sollte, wäre mir neu. Aber die Inplausibilitäten, die es jetzt hierbei gibt, sehe ich natürlich auch; das ist ganz klar.

Wir werden am 28. August hier auch die Anhörung haben, bei der es um diese Kombinationen gehen wird; da werden wir uns lang und breit darüber unterhalten. Wir hatten jetzt zwei, drei Kombinationen benannt, potenzielle Kombinationen, die, wenn sie in der Praxis angewandt würden, so ähnlich wie nach dem BSG-Urteil zu den Solisten in die Nähe von ärztlichen Kunstfehlern kämen, weil zwei Wirkstoffe der gleichen Wirkstoffklasse dann in einer Kombination eigentlich völlig gegen jedweden Verstand wären. Vor diesem Hintergrund sehe ich da auch noch Optimierungspotenziale.

Jetzt habe ich Herrn Professor Wörmann, der die Hand gehoben hat, und Herrn Schepperle.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ganz kurz zum selben Thema: Wir sehen natürlich, dass das, was der G-BA schreibt und was in den Protokollen geschrieben wird, dann auch von Verordnern genutzt werden könnte. Deswegen haben wir uns jetzt in den Fachgesellschaften entschieden, dass, wenn erforderlich, wir in unsere Stellungnahmen einen Satz einfügen, ob diese Kombinationen in der Versorgung eine Bedeutung haben. Das soll nicht die Juristerei aushebeln, aber ich glaube, es macht schon Sinn; denn für uns ist schon wichtig, dass die Verordner wissen, ob es routinemäßig da ist.

Uns geht es mehr um den anderen Punkt. Zum Beispiel in dem vorliegenden Fall wäre es regelhaft eine Übertherapie, wenn man mehreres zusammen geben würde. Das sollten wir, glaube ich, auch so formulieren. Deswegen haben wir uns jetzt entschieden, einen Satz einzufügen, wenn es uns medizinisch relevant erscheint.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, dafür sind wir auch sehr dankbar, Herr Professor Wörmann. Unser Problem war halt nur: Du hast ein Arzneimittel, und dann hast du tausend Kombinationen. Wenn man diese Sichtweise, die die Rechtsaufsicht vertritt, dass eben eine Zulassung, sofern nicht ausdrücklich Monotherapie, dann im gleichen Anwendungsgebiet alle möglichen Kombinationen zulässt, daraufhin auseinanderfieselt, was medizinisch rational ist, was nicht und was ein Graufeld ist, dann kann man mehr Fehler machen, und teilweise ist es wirklich nur von akademischer Bedeutung, weil ja der Abschlag erst in dem Augenblick fällig wird, in dem eine solche Irrsinnskombination – ich formuliere bewusst „Irrsinnskombination“ – abgegeben wird, auf einem Rezept oder auf zwei Rezepten binnen einer gewissen Zeit. Dann muss man sich mit der Frage der Sinnhaftigkeit auseinandersetzen. Aber diese Hinweise sind für uns außerordentlich hilfreich. – Herr Schepperle, bitte.

Herr Schepperle: ja, ich finde es auch eine spannende Diskussion, und es wirft ein paar Fragen auf, die ich vorher auch nicht hatte. Wir blicken ja hier auf die mittelschwere Hämophilie. Wäre es möglich, dass ich mit einer Kombinationstherapie – die erste Frage richtet sich an Dr. Klamroth, bitte – dann vielleicht auch wieder einen Hemmkörper entwickeln könnte?

Die andere Frage: Ich habe ja in der mittelschweren Hämophilie noch eine Restaktivität. Macht es dann überhaupt Sinn, eine Toleranzinduktion anzuwenden?

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herr Klamroth, können Sie dazu etwas sagen?

Herr PD Dr. Klamroth (GTH): Zu Ihrer ersten Frage: Glücklicherweise ist bei der mittelschweren Hämophilie die Hemmkörperentwicklung natürlich deutlich seltener. Das ist mutationsabhängig, das gibt es, aber es ist deutlich weniger vorhanden. Ich gehe eher davon aus, dass die Kombinationstherapie damit für diese Indikation erst einmal keine Rolle spielt. Ich halte auch eine Immuntoleranztherapie für extrem unwahrscheinlich, weil Emicizumab bei dieser Indikation ja auch gut wirksam ist.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Sie hatten sich noch einmal gemeldet, Herr Schepperle.

Herr Schepperle: Eine kurze Nachfrage. Mit welchen Faktorspiegeln müsste ich denn rechnen, wenn ich eine Toleranzinduktion in dieser Hämophilieform mache? Also, was wäre ein sinnvoller Talspiegel des Faktors VIII, Dr. Klamroth?

Herr PD Dr. Klamroth (GTH): Herr Schepperle, das ist ja relativ komplex. Bei den meisten Patienten, die den Faktor VIII selbst produzieren und dann einen Antikörper entwickeln, braucht man in der Regel zusätzlich noch eine Immunsuppression, um Toleranz zu erzeugen, weil sie ja durch die eigene Produktion sowieso eine ständige Antigenpräsentation haben. Das macht es sehr komplex in diesem individuellen Fall.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. – Herr Wörmann, Sie hatten sich noch gemeldet.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Ich habe nur die kurze Rückfrage, ob der Kollege die beiden letzten Antworten privat abrechnen darf.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Ja, okay. Das werden wir prüfen. Die Kostennote werden wir dann an die Patientenvertretung übermitteln. – Okay, alles klar.

Dann weitere Fragen, die nicht privatliquidationsfähig sind? – Das sehe ich nicht, keine privatliquidationsfähigen Fragen. Dann sind wir schon durch. – Frau Bayer, Sie dürfen noch einmal, wenn Sie möchten. Es gibt ja relativ wenig, was Sie jetzt diskutieren können.

Frau Dr. Bayer (Roche): Ich fasse trotzdem noch einmal kurz zusammen, dass die HAVEN 6 erstmals eine evidenzbasierte Grundlage bietet, um diese spezifische Patientenpopulation, die sich im Bereich von 72 bis 241 der GKV-Patienten befindet, zu behandeln, dass hier nachgewiesen werden konnte, dass Emicizumab wirksam und sicher ist – zwei Drittel der Patienten haben keine behandlungsbedürftigen Blutungen, 90 Prozent keine Gelenkblutungen – und dass die Patienten diese subkutane, einfache Darreichungsform schätzen.

Zur Kombinationstherapie: Die arzneimittelrechtlichen Zulassungen sowohl für Emicizumab als auch für die als Kombinationspartner genannten Substanzen wurden jeweils einzeln klinisch geprüft; sie wurden somit auch einzeln für die Routineprophylaxe zugelassen. Außerdem handelt es sich daher aus unserer Sicht um keine Kombinationstherapie im Sinne der arzneimittelrechtlichen Zulassung, und daher sind für Emicizumab keine Kombinationstherapien zu benennen.

Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A mit schwerem Blutungsphänotyp haben jetzt mit der Zulassung von Emicizumab in dieser speziellen Indikation eine weitere relevante Therapieoption: Der erste bispezifische Antikörper in diesem Feld, der subkutan zu verabreichen ist, bietet einen verlässlichen Blutungsschutz.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank für diese Zusammenfassung, wobei ich da nicht umhin kann, Folgendes zu sagen – Sie hatten das auch in Ihrer Einleitung schon gesagt –: Wirksamkeit und Sicherheit sind Bestandteil der Zulassung, und ein positives Nutzen-Schaden-Verhältnis ist Voraussetzung für die Zulassung, jenseits der Frage, ob das dann als Kombinationspräparat zum Einsatz kommt oder nicht. Also, insofern hatten wir jetzt mal grundsätzlich die Wirksamkeit und die Sicherheit nicht infrage gestellt. Es geht hier um die Frage des Zusatznutzens. Dass die Patienten das schätzen, haben wir von Ihnen und auch von der Patientenvertretung gehört.

Damit können wir diese Anhörung schließen. Ich bedanke mich und wünsche denjenigen, die uns jetzt verlassen, einen schönen Resttag.

Schluss der Anhörung: 11:25 Uhr