

Mündliche Anhörung

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

hier: Riociguat (D-943)

Videokonferenz im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 6. November 2023
von 15:45 Uhr bis 15:56 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **MSD Sharp & Dohme GmbH**:

Frau Frénoy

Frau Worf

Frau Dr. Nill

Angemeldeter Teilnehmender des **Verbandes Forschender Arzneimittelhersteller (vfa)**:

Herr Dr. Rasch

Beginn der Anhörung: 15:45 Uhr

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschusses Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Jetzt haben wir die mündliche Anhörung zu Riociguat, pulmonal arterielle Hypertonie von Kindern und Jugendlichen unter 18 Jahren und einem Körpergewicht ≥ 50 Kilogramm. Wir haben als Basis der heutigen Anhörung die Dossierbewertung des IQWiG vom 13. September 2023, zu der der pharmazeutische Unternehmer MSD Sharp & Dohme und der Verband Forschender Arzneimittelhersteller Stellung genommen haben.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer MSD Sharp & Dohme müssten anwesend sein Frau Frénoy, Frau Worf und Frau Dr. Nill und für den vfa Herr Bussilliat. Ist noch jemand in der Leitung, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich gebe zunächst dem pharmazeutischen Unternehmer die Möglichkeit, einzuführen. Wir haben keine direkt vergleichende Studie, die bewertet werden konnte. Wer macht das für den pharmazeutischen Unternehmer? – Frau Frénoy, bitte.

Frau Frénoy (MSD Sharp & Dohme): Vielen Dank, Herr Professor Hecken. Sehr geehrter Herr Vorsitzender! Sehr geehrte Damen und Herren! Vielen Dank, dass wir die Möglichkeit haben, unsere Sicht der Dinge darstellen zu dürfen. Ich möchte Ihnen zunächst meine Kolleginnen vorstellen: Das ist zum einen Frau Worf, HTA, die für die Erstellung des Dossiers verantwortlich war, und Frau Nill, unsere Kollegin von Medical. Mein Name ist Edith Frénoy. Ich koordiniere bei MSD den Bereich Nutzenbewertung.

Riociguat ist nun auch, Sie haben es eingangs erwähnt, zugelassen in Kombination mit Endothelin-Rezeptor-Antagonisten für die Behandlung von Kindern und Jugendlichen im Alter von unter 18 Jahren und einem Körpergewicht von über 50 Kilogramm mit pulmonal-arterieller Hypertonie, kurz PAH, der WHO-Funktionsklassen 2 bis 3. PAH ist eine chronisch-progressive, unheilbare Erkrankung, die schlussendlich zu Rechtsherzinsuffizienz und Tod führen kann. Bei einer geschätzten Prävalenz von etwa zwei Fällen pro einer Million Kinder gilt PAH als seltene Erkrankung. Die zulassungsbe gründende Studie für das vorliegende Anwendungsgebiet ist die Studie PATENT-CHILD.

Bei der Studie PATENT-CHILD handelt es sich um eine internationale, multizentrische, einarmige, offene Phase-III-Dosis-Findungsstudie, die alle Anforderungen der EMA an die Durchführung des pädiatrischen Prüfkonzepts erfüllt und die Wirksamkeit und Sicherheit von Riociguat auch bei Kindern und Jugendlichen unter Beweis stellt. So wurde nach 24 Wochen eine Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit erzielt. Die mittlere Verbesserung der 6-Minuten-Gehstrecke betrug 23 Meter. Entscheidend für diese Kinder und Jugendlichen ist jedoch, Riociguat konnte bei diesen Patientinnen und Patienten gerade bei der Lebensqualität punkten. Die Lebensqualität der betroffenen Kinder und Jugendlichen verbesserte sich unter Riociguat sowohl physisch wie auch emotional und sozial und bei der schulischen Funktion.

Diese Ergebnisse belegen den hohen medizinischen Nutzen von Riociguat in Kombination mit Endothelin-Rezeptorantagonisten in der Endpunktkategorie gesundheitsbezogene Lebensqualität bei Kindern und Jugendlichen im Alter von unter 18 Jahren. Diese Ergebnisse sind deshalb besonders wichtig, weil es bis heute nur eingeschränkt zugelassene Behandlungsmöglichkeiten für Kinder mit PAH gibt.

Pädiatrische Studien in der frühen Nutzenbewertung stellen eine besondere Herausforderung dar, und so war das auch hier. Mit der PATENT-CHILD-Studie haben wir alle Daten vorgelegt, die uns zur Verfügung stehen, auch wenn diese, dessen sind wir uns

bewusst, limitiert sind. Dies ist auf die Seltenheit der Erkrankung zurückzuführen. Entscheidend ist für uns jedoch, dass mit Riociguat eine zugelassene Behandlungsoption der neuen Generation für diese betroffenen Kinder und Jugendlichen zur Verfügung steht, die sowohl eine Verbesserung in der Mobilität, aber auch in der Lebensqualität gezeigt hat und daher aus Sicht von MSD einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen rechtfertigt. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank, Frau Frénoy, für diese Einführung. Wir haben keine Kliniker, obwohl wir nachgefragt haben. Wir hätten gerne welche gehabt. Deshalb kann ich auch keine Fragen an die Kliniker stellen. Ich schaue in die Runde. Wer hat Fragen bezogen auf das Dossier, die Dossierbewertung oder das, was Frau Frénoy gerade vorgetragen hat? – Herr Telschow, Kassenärztliche Bundesvereinigung.

Herr Telschow: Vielen Dank. Ich habe eine Frage zur Zulassung. Sie haben die Zulassung für die Erwachsenen schon seit einiger Zeit für die Mono- und die Kombitherapie. Jetzt haben Sie das Studiendesign in Kombination mit Endothelin-Rezeptorantagonisten gewählt und dafür die entsprechende Zulassung bekommen. Das macht es ungleich schwerer, die Wirksamkeit zu beurteilen. Warum haben Sie das Design so gewählt? Ist noch etwas geplant? Ich vermute, eher nicht.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. Wer möchte das beantworten? – Frau Worf, bitte.

Frau Worf (MSD Sharp & Dohme): Ich würde die Frage gern aufnehmen. Wir haben das Studiendesign so gewählt, weil es eine sehr seltene Erkrankung bei Erwachsenen ist und bei Kindern noch viel seltener. Das hat die Durchführung der Head-to-Head-Studie aufgrund der geringen Patientenzahlen nahezu unmöglich gemacht. Wir haben primär gesehen, dass wir durch die Zulassung von der EMA bestätigt bekommen haben, dass dieses Studiendesign adäquat ist.

Zu zweiten Teil Ihrer Frage, ob noch etwas geplant ist: Aktuell ist für Riociguat keine weitere Studie geplant.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Danke schön. Herr Telschow, das nehmen wir zur Kenntnis.

Herr Telschow: Das nehmen wir zur Kenntnis.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Gibt es weitere Fragen? Keine? – Okay, das hätte mich auch gewundert. Dann sind wir schon durch. Es gibt keine weiteren Fragen. PU, möchten Sie noch etwas anmerken, zusammenfassen, was Sie einleitend gesagt haben? Frau Frénoy, nehmen Sie Bezug auf Ihre Einleitung?

Frau Frénoy (MSD Sharp & Dohme): Ich kann schließen. Ich werde nichts zusammenfassen, weil wir nicht diskutiert haben. Aber wir wollten nichtsdestotrotz aufgrund der Frage, die gerade gestellt wurde, ein Schlussstatement abgeben. Es ist allgemein bekannt, dass es aufgrund der Seltenheit einer Erkrankung nicht immer möglich ist, statistisch aussagekräftige klinische Studien bei Kindern durchzuführen, die den Anforderungen der frühen Nutzbewertung genügen. Das gilt insbesondere bei PAH, die schon bei Erwachsenen als seltene Erkrankung gilt und bei Kindern eine noch geringere Inzidenz aufweist.

Andererseits wird zurecht von Unternehmen erwartet und verlangt, dass pädiatrische Studien durchgeführt werden, um den Kindern sichere, wirksame und für sie zugelassene Therapien zur Verfügung zu stellen. Als MSD stehen wir zu unserer ethischen Verantwortung gegenüber den jungen Patienten. Wir hoffen auf einen Weg für pädiatrische Indikationen im AMNOG, der den medizinischen Fortschritt für junge Patienten mit seltenen Erkrankungen anerkennt. Wir stehen für einen offenen Dialog bereit und hoffen, dass der G-BA in seiner Entscheidung diese Besonderheiten bei der Studiendurchführung für die Kinderarzneimittel berücksichtigen wird. – Vielen Dank.

Herr Prof. Hecken (Vorsitzender): Herzlichen Dank. Das war kurz, ist aber klar. Es gibt keine vergleichenden Daten und keine Kliniker, vor diesem Hintergrund war es logisch, dass man wenig Fragen stellen konnte. Danke, dass Sie uns gleichwohl zur Verfügung standen und Ihre Sicht der Dinge dargetan haben. Damit beende ich diese Anhörung. Wir werden das selbstverständlich zu würdigen haben. Ich unterbreche die Sitzung bis 16:15 Uhr. Dann geht es weiter mit den DPP-4-Inhibitoren Gruppe 1, in Stufe 2 Festbetragsgruppenbildung. Danke schön und bis gleich.

Schluss der Anhörung: 15:56 Uhr