

Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

Obeticholsäure (OCA; OCALIVA®)

Intercept Pharma Deutschland GmbH

Modul 4 A bzw. 5 (Ergänzung)

für die Behandlung der primären biliären Cholangitis (auch unter der Bezeichnung primäre biliäre Zirrhose bekannt) in Verbindung mit Ursodesoxycholsäure (UDCA) bei Erwachsenen, die unzureichend auf UDCA ansprechen, oder als Monotherapie bei Erwachsenen, die UDCA nicht tolerieren können.

Nachgereichte Unterlagen zu den am
09.01.2016 eingereichten
Dossierunterlagen
gemäß 5. Kapitel § 17 Abs. 1 Verfo

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	3
Abbildungsverzeichnis	4
Abkürzungsverzeichnis.....	5
1 Modul 4A bzw. 5 – allgemeine Informationen	6
1.1 Ergänzung zu Modul 5 (Studienberichte bzw. Abschnitt 4.3.2.3).....	6
1.2 Ergänzung zu 4.7 Referenzliste Modul 4A.....	6

Tabellenverzeichnis

Seite

Es konnten keine Einträge für ein Abbildungsverzeichnis gefunden werden.

Abbildungsverzeichnis

Seite

Es konnten keine Einträge für ein Abbildungsverzeichnis gefunden werden.

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
CSR	klinischer Studienreport
FDA	Food and Drug Administration
LTSE	Langzeit-Sicherheitsstudie
SAP	Statistischer Analyseplan

Anmerkung:

Zur einfacheren Lesbarkeit wurde meist die männliche Form (z.B. „Ansprecher“, „Patient“, „Arzt“ usw.) verwendet. Damit ist stets auch die weibliche Form gemeint.

1 Modul 4A bzw. 5 – allgemeine Informationen

Der G-BA hat die Intercept Pharma Deutschland GmbH mit Schreiben vom 21.02.2017 darauf hingewiesen, dass im Rahmen der frühen Nutzenbewertung nach § 35a SGB V für den Wirkstoff Obeticholsäure nicht alle nach dem 5. Kapitel, § 9 der Verfahrensordnung des G-BA vorzulegenden Unterlagen eingereicht wurden. Mit dem vorliegenden Dokument kommt die Intercept Pharma Deutschland GmbH der Aufforderung des G-BA nach, die fehlenden Unterlagen nachzureichen.

1.1 Ergänzung zu Modul 5 (Studienberichte bzw. Abschnitt 4.3.2.3)

In Abschnitt 4.3.2.3 des Dossiers wird die Langzeitsicherheitsstudie (long term extension phase, LTSE) der POISE Studie (747-301) dargestellt. Hierzu besteht ein Studienbericht (Berichtsdatum: 21.04.2015), in dem die Ergebnisse der Long-term Extension der Studie 707-301 mit Datenstand 31. August 2014 berichtet werden (1). Dieser CSR wurde als nachgereichte Unterlage zu Modul 5 (Studienberichte), zur Verfügung gestellt.

Die zugehörigen Studienprotokolle sind ebenfalls enthalten. Der statistische Analyseplan (SAP) der LTSE vom 30.03.2015 wurde als gesondertes Dokument ebenfalls nachgereicht.

In dem Bewertungsverfahren der amerikanischen FDA (http://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/nda/2016/207999Orig1s000StatR.pdf; Link überprüft 23.02.2017) wurde eine Zwischenauswertung dieser Langzeitstudie mit Datenstand 29.06.2015 analysiert. Hierzu liegt kein CSR vor.

Im eingereichten Dossier werden in Modul 4 unter 4.3.2.3 die aktuellsten Ergebnisse aus der LTSE Studie mit Datenstand Januar 2016 berichtet. Für diesen Datenstand liegt kein CSR vor.

1.2 Ergänzung zu 4.7 Referenzliste Modul 4A

1. Intercept Pharmaceuticals. Interim Clinical Study Report (Synoptic): Protocol 747-301. A Phase 3, Double Blind, Placebo Controlled Trial and Long Term Safety Extension of Obeticholic Acid in Patients with Primary Biliary Cirrhosis: Long-Term Safety Extension Phase. 2015.