

**Dossier zur Nutzenbewertung  
gemäß § 35a SGB V**

*Sucroferric Oxyhydroxide (Velphoro<sup>®</sup>)*

Fresenius Medical Care Nephrologica  
Deutschland GmbH

**Modul 4 A**

*Kontrolle des Serumphosphatspiegels bei Kindern und  
Jugendlichen ab 2 Jahren im CKD-Stadium 4 - 5 oder  
mit einer dialysepflichtigen CKD*

Zusatzdokument zur Nachforderung  
fehlender Unterlagen/Angaben gemäß  
5. Kapitel, § 17 Abs. 1 VerfO  
(Dossier-Nr. 2020-12-15-D-635)

# Inhaltsverzeichnis

	<b>Seite</b>
4 Modul 4 – allgemeine Informationen .....	4
4.3 Ergebnisse zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen.....	4
4.3.1 Ergebnisse randomisierter kontrollierter Studien mit dem zu bewertenden Arzneimittel.....	4
4.3.1.1 Ergebnis der Informationsbeschaffung – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel .....	4
4.3.1.1.1 Studien des pharmazeutischen Unternehmers.....	4
4.3.1.1.2 Studien aus der bibliografischen Literaturrecherche.....	4
4.3.1.1.3 Studien aus der Suche in Studienregistern/ Studienergebnisdatenbanken.....	4
4.3.1.1.4 Studien aus der Suche auf der Internetseite des G-BA .....	5

## Tabellenverzeichnis

	<b>Seite</b>
Tabelle 4-11: Relevante Studien (auch laufende Studien) aus der Suche in Studienregistern / Studienergebnisdatenbanken – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel.....	5
Tabelle 4-12: Relevante Studien aus der Suche auf der Internetseite des G BA – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel.....	6

**Informationen zur Nachreichung fehlender Unterlagen (5. Kap., § 17 Abs. 1 VerfO)**

Bei der Überprüfung der formalen Vollständigkeit der von der SKC Beratungsgesellschaft mbH am 15. Dezember 2020 eingereichten Dossierunterlagen für den Wirkstoff Sucroferric Oxyhydroxide (Velphoro®) wurde vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) festgestellt, dass nicht alle nach 5. Kapitel § 9 der Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA vorzulegenden Unterlagen für den Wirkstoff Sucroferric Oxyhydroxide (Dossier-Nr. 2020-12-15-D-635) eingereicht wurden.

Durch **blaue** Farbmarkierung werden Ergänzungen zu den am 15. Dezember 2020 eingereichten Dossierunterlagen hervorgehoben. Die Gliederungsangaben entsprechen der Originalnummerierung im Dossier.

## 4 Modul 4 – allgemeine Informationen

...

### 4.3 Ergebnisse zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen

...

#### 4.3.1 Ergebnisse randomisierter kontrollierter Studien mit dem zu bewertenden Arzneimittel

##### 4.3.1.1 Ergebnis der Informationsbeschaffung – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel

###### 4.3.1.1.1 Studien des pharmazeutischen Unternehmers

...

###### 4.3.1.1.2 Studien aus der bibliografischen Literaturrecherche

...

###### 4.3.1.1.3 Studien aus der Suche in Studienregistern/ Studienergebnisdatenbanken

*Beschreiben Sie in der nachfolgenden Tabelle alle relevanten Studien, die durch die Suche in Studienregistern/ Studienergebnisdatenbanken identifiziert wurden. Geben Sie dabei an, in welchem Studienregister / Studienergebnisdatenbank die Studie identifiziert wurde und welche Dokumente dort zur Studie jeweils hinterlegt sind (z. B. Studienregistereintrag, Bericht über Studienergebnisse etc.). Geben Sie auch an, ob die Studie in der Liste der Studien des pharmazeutischen Unternehmers enthalten ist (siehe Tabelle 4-9) und ob die Studie auch durch die bibliografische Literaturrecherche identifiziert wurde. Fügen Sie für jede Studie eine neue Zeile ein. Listen Sie die ausgeschlossenen Studien unter Nennung des Ausschlussgrunds in Anhang 4-D.*

*[Anmerkung: „Relevanz“ bezieht sich in diesem Zusammenhang auf die im Abschnitt 4.2.2 genannten Kriterien für den Einschluss von Studien in die Nutzenbewertung.]*

*Orientieren Sie sich bei Ihren Angaben an der beispielhaften ersten Tabellenzeile.*

Tabelle 4-11: Relevante Studien (auch laufende Studien) aus der Suche in Studienregistern / Studienergebnisdatenbanken – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel

Studie	Identifikationsorte (Name des Studienregisters/ der Studienergebnisdatenbank und Angabe der Zitate <sup>a</sup> )	Studie in Liste der Studien des pharmazeutischen Unternehmers enthalten (ja/nein)	Studie durch bibliografische Literaturrecherche identifiziert (ja/nein)	Status (abgeschlossen/ abgebrochen/ laufend)
Studie 1	NCT02688764 Studienregistereintrag [33] Studienprotokoll [35] Statistischer Analyseplan [36] Studienergebnisübersicht[37]  EudraCT 2015-004155-43 Studienregistereintrag [34] Studienergebnisbericht [38]  WHO ICTRP EudraCT [39] NCT [40]  PharmNet.Bund/AMIce [41]	Ja (PA-CL-PED-01)	Ja [42] In Cochrane Central Register of Controlled Trials wurden auch Verweise auf die folgenden Registereinträge identifiziert: NCT[33] EudraCT [34]	abgebrochen (Frankreich: abgeschlossen) <sup>b</sup>

a: Zitat des Studienregistereintrags, die Studienregisternummer (NCT-Nummer, EudraCT-Nummer) sowie, falls vorhanden, der im Studienregister/in der Studienergebnisdatenbank aufgelisteten Berichte über Studiendesign und/oder -ergebnisse.

b: Nach Gesprächen mit der FDA und der EMA über Rekrutierungsschwierigkeiten und -anforderungen für das pädiatrische Entwicklungsprogramm Sucroferric Oxyhydroxide stoppte der Sponsor die Rekrutierung am 19. November 2018 vorübergehend, da die von der EMA PDCO geforderte Mindestzahl der für die Studie randomisierten Probanden erreicht worden war; das vorläufige Feedback der FDA deutete ebenfalls darauf hin, dass die Studie mit der gegenwärtigen Anzahl randomisierter Probanden abgeschlossen werden könnte. Am 6. März 2019 stimmte die FDA auf der Grundlage der Daten und der Begründung des Sponsors zu, die Mindestzahl der erforderlichen pädiatrischen Patienten zu ändern, insbesondere, dass eine Mindestzahl von Probanden, die weniger als 2 Jahre alt sind, nicht erforderlich ist, um die Bedingungen des schriftlichen Antrags (schriftlicher Antrag Nr. 1 der FDA vom 6. März 2019) zu erfüllen, und dass insgesamt mindestens 30 pädiatrische Probanden in Phase 2 der Studie behandelt werden müssen. Nach den Vereinbarungen mit der EMA und der FDA beendete der Sponsor die Studie am 11. März 2019.

*Geben Sie an, welchen Stand die Information in Tabelle 4-11 hat, d. h. zu welchem Datum die Recherche durchgeführt wurde. Das Datum der Recherche soll nicht mehr als 3 Monate vor dem für die Einreichung des Dokuments maßgeblichen Zeitpunkt liegen.*

**Die Suche in den Studienregistern erfolgte für ClinicalTrials.gov, EU Clinical Trials Register und WHO ICTRP am 02.12.2020 und für AMIce / PharmNet.Bund und EMA Clinical Data am 06.12.2020.**

#### 4.3.1.1.4 Studien aus der Suche auf der Internetseite des G-BA

*Beschreiben Sie in der nachfolgenden Tabelle alle relevanten Studien, die durch die Sichtung der Internetseite des G-BA identifiziert wurden. Geben Sie dabei an, welche Dokumente dort hinterlegt sind (z. B. Dossier eines anderen pharmazeutischen Unternehmers, IQWiG Nutzenbewertung). Geben Sie auch an, ob die Studie in der Liste der Studien des pharmazeutischen Unternehmers enthalten ist (siehe Tabelle 4-9) und ob die Studie auch durch*

die bibliografische Literaturrecherche bzw. Suche in Studienregistern/ Studienergebnisdatenbank identifiziert wurde. Fügen Sie für jede Studie eine neue Zeile ein.

[Anmerkung: „Relevanz“ bezieht sich in diesem Zusammenhang auf die im Abschnitt 4.2.2. genannten Kriterien für den Einschluss von Studien in die Nutzenbewertung.]

Orientieren Sie sich bei Ihren Angaben an der beispielhaften ersten Tabellenzeile.

Tabelle 4-12: Relevante Studien aus der Suche auf der Internetseite des G-BA – RCT mit dem zu bewertenden Arzneimittel

Studie	Relevante Quellen <sup>a</sup>	Studie in Liste der Studien des pharmazeutischen Unternehmers enthalten (ja/nein)	Studie durch bibliografische Literaturrecherche identifiziert (ja/nein)	Studie durch Suche in Studienregistern / Studienergebnisdatenbanken identifiziert (ja/nein)
Es wurde keine relevante Studie/Quelle identifiziert Stand 6.12.2020				
a: Quellen aus der Suche auf der Internetseite des G-BA				

Geben Sie an, welchen Stand die Information in Tabelle 4-12 hat, d. h. zu welchem Datum die Recherche durchgeführt wurde. Das Datum der Recherche soll nicht mehr als 3 Monate vor dem für die Einreichung des Dossiers maßgeblichen Zeitpunkt liegen.

Die Suche auf der Internetseite des G-BA wurde am 6.12.2020 durchgeführt. Durch die Sichtung der Internet-Seite des G-BA wurde ein Nutzendossier zu Velphoro 2014/5 identifiziert [43]. Die dort fokussierte Population sind jedoch Erwachsene. Die Studie mit pädiatrischer Population PA-CL-PED-01 wird als Studie im Planungsstadium einmal erwähnt Insgesamt wurden auf der Internet-Seite des G-BA zu der für diese Nutzenbewertung relevanten Studie PA-CL-PED-01 keine ergänzenden Informationen gefunden.