

Sepiapterin (Phenylketonurie)

Addendum zum Projekt G25-23
(Dossierbewertung)

A horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey, spanning the width of the page below the title.

ADDENDUM (DOSSIERBEWERTUNG)

Projekt: G25-37

Version: 1.0

Stand: 18.12.2025

IQWiG-Berichte – Nr. 2157

DOI: 10.60584/G25-37

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Sepiapterin (Phenylketonurie) – Addendum zum Projekt G25-23

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

25.11.2025

Interne Projektnummer

G25-37

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-37>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: berichte@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Sepiapterin (Phenylketonurie); Addendum zum Projekt G25-23 (Dossierbewertung) [online]. 2025 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-37>.

Schlagwörter

Sepiapterin, Phenylketonurie

Keywords

Sepiapterin, Phenylketonuria

An dem Addendum beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Christopher Kunigkeit
- Anna-Lena Firle
- Anja Schwalm

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
1 Hintergrund.....	1
2 Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V	2
2.1 Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer im Dossier sowie in der Stellungnahme	2
2.2 Berechnung	2
3 Literatur	4

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Berechnung des Anteils der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an deutschen Prüfstellen	3

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
CTD	Common Technical Document
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) am 25.11.2025 mit ergänzenden Bewertungen zum Projekt G25-23 (Sepiapterin – Nutzenbewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V) [1] beauftragt.

Im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens zur Bewertung von Sepiapterin wurden vom pharmazeutischen Unternehmer (pU) mit seiner Stellungnahme vom 05.11.2025 [2] ergänzende Daten zum Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen an den G-BA übermittelt, die über die Angaben im Dossier hinausgehen [3].

Der G-BA hat das IQWiG mit der Berechnung der Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen unter Berücksichtigung der Studie PTC923-PKU-301 beauftragt.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird dem G-BA übermittelt. Über den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V beschließt der G-BA.

2 Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

2.1 Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer im Dossier sowie in der Stellungnahme

Im Dossier liefert der pU Angaben zu den Studien PTC923-MD-003-PKU, PKU-002 und PTC923-MD-004-PKU, wobei er letztere aufgrund der laut ihm noch laufenden Rekrutierung nicht in die Berechnung einschließt. Über die verbleibenden beiden Studien hinweg gibt er den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V in Höhe von 5,2 % an [1].

In der Bewertung wurden im Abgleich mit dem Common Technical Document (CTD) mindestens 4 weitere Studien mit Registereintrag identifiziert (PKU-001, GAS-001, PBD-001, PTC923-MD-005-HV), welche der Zulassungsbehörde für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden [1]. Diese Studien, die nicht an deutschen Prüfstellen stattfanden, sind in die Anteilsberechnung miteinzubeziehen.

Im Abgleich mit Modul 4 A wurde 1 weitere Studie (PTC923-PKU-301) identifiziert, welche in die Berechnung einzubeziehen ist [1]. Mit seiner Stellungnahme hat der pU zusätzliche Daten zu dieser Studie vorgelegt [4], die eine Neuberechnung des Anteils der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an deutschen Prüfstellen ermöglichen. Im Folgenden wird dieser Anteil unter Berücksichtigung der zusätzlichen Daten ermittelt.

2.2 Berechnung

Auf Grundlage der Angaben zu den in Tabelle 1 genannten Studien ergibt sich unter Einbezug der Studie PTC923-PKU-301 ein Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an deutschen Prüfstellen in Höhe von 2,06 %.

Es ist darauf hinzuweisen, dass sich im CTD weitere Studien befinden, für die allerdings kein Registereintrag identifiziert werden konnte. Diese Studien wurden laut CTD jedoch ausschließlich in Prüfzentren außerhalb Deutschlands durchgeführt und würden demnach lediglich zu einer Verringerung des ermittelten Anteilswertes führen.

Vor diesem Hintergrund ist davon auszugehen, dass der Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V an der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer unter 5 % liegt.

Tabelle 1: Berechnung des Anteils der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an deutschen Prüfstellen

Studie	Berechnung inklusive der nachgereichten Angaben	
	Anzahl der Prüfungsteilnehmenden über alle Prüfstellen	Anzahl der Prüfungsteilnehmenden an deutschen Prüfstellen
PTC923-MD-003-PKU	110 ^a	7 ^a
PKU-002	24 ^a	0 ^a
PKU-001	83 ^b	0 ^{b, c}
GAS-001	21 ^b	0 ^{b, c}
PBD-001	8 ^b	0 ^{b, c}
PTC923-MD-005-HV	32 ^b	0 ^{b, c}
PTC923-PKI-301	62 ^d	0 ^d
Gesamt	340 ^e	7 ^e
Gesamt in %	–	2,06 % ^e
a. Angaben des pU aus dem Dossier [3] b. Angaben aus dem CTD c. Angabe auf Grundlage der Informationen zu den beteiligten Studienzentren, die ausschließlich außerhalb Deutschlands liegen d. Angaben aus dem zugehörigen Studienbericht [4] e. eigene Berechnung CTD: Common Technical Document; pU: pharmazeutischer Unternehmer		

3 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Sepiapterin (Phenylketonurie); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2025 [Zugriff: 28.11.2025]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-23>.
2. PTC Therapeutics international. Stellungnahme zum IQWiG-Bericht Nr. 2105: Sepiapterin (Phenylketonurie); Dossierbewertung; Projekt G25-23. [Demnächst verfügbar unter <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1244/#beschluesse> im Dokument „Zusammenfassende Dokumentation“].
3. PTC Therapeutics International. Sepiapterin (Sephience); Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V [online]. 2025 [Zugriff: 13.11.2025]. URL: <https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1244/#dossier>.
4. PTC Therapeutics. Clinical Study Report - Ptc923-Pku-301; A Phase 3, Randomized, Crossover, Open-Label, Active-Controlled Study Of Sepiapterin Versus Sapropterin In Participants With Phenylketonuria Greater Than Or Equal To 2 Years Of Age [unveröffentlicht]. 2025.