

G-BA News Service

BRUNSWICK



Berlin, 7. März 2024

Sehr geehrte Damen und Herren,

Brunswick informiert über die Entscheidungen des Gemeinsamen Bundesausschusses aus der heutigen Sitzung.

Wir wünschen Ihnen eine angenehme Lektüre.

Hubert Kümper und Sascha Müller

Arzneimittel

Orphan Drug Lonapegsomatropin bei Kindern mit Wachstumsstörung: Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen

Der Wirkstoff Lonapegsomatropin [Handelsname: Skytrofa[®]; Hersteller: Ascendis Pharma Endocrinology] ist als Orphan Drug zugelassen zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen im Alter von 3 bis 18 Jahren mit Wachstumsstörungen aufgrund unzureichender Sekretion des endogenen Wachstumshormons (Wachstumshormonmangel). Die Studiendaten zeigten im primären Endpunkt Körpergröße einen statistisch signifikanten Vorteil für eine Therapie mit Lonapegsomatropin. Allerdings sei laut G-BA die klinische Relevanz dieser Verbesserung im Gesamtkontext der Erkrankung unklar. Ebenso fehlten Langzeitdaten, die eine Einschätzung des Effekts auf die langfristige körperliche Entwicklung ermöglichen würden. Im Ergebnis sieht der G-BA daher einen Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt. Die Patientenvertretung

hatte sich in einem abweichenden Votum für einen geringen Zusatznutzen ausgesprochen, vor allem auf Basis des gezeigten Wachstumseffekts von zusätzlich knapp 1 cm pro Jahr.

[Beschluss / Tragende Gründe](#)

Risdiplam zur SMA-Behandlung bei Kindern unter 2 Monaten: Zusatznutzen nicht belegt

Der Wirkstoff Risdiplam [Handelsname: Evrysdi[®], Hersteller: Roche Pharma] ist zugelassen zur Behandlung von Patientinnen und Patienten im Alter von unter 2 Monaten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) und einer klinisch diagnostizierten Typ 1-, Typ 2- oder Typ 3-SMA oder mit 1 bis 4 Kopien des Survival of Motor Neuron (SMN)2-Gens. Für die Nutzenbewertung unterschied der G-BA drei Patientengruppen: (1) präsymptomatische Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens; (2) symptomatische Patienten mit Typ-1-SMA; sowie (3) präsymptomatische Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit 4 Kopien des SMN2-Gens.

Während für die Patientengruppe 2 keinerlei Daten vorlagen, hatte der Hersteller für Patienten der Gruppe 1 Daten zur Mortalität, Morbidität und Nebenwirkungen aus der einarmigen Zulassungsstudie vorgelegt. Aufgrund fehlender Vergleichsdaten konnte der G-BA hieraus aber keinen Zusatznutzen ableiten. Die vom Hersteller angeführten Vorteile, die sich aus einer oralen und kontinuierlichen Gabe der Therapie gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ergeben würden, konnten ebenfalls aufgrund fehlender Daten nicht belegt und für die Bewertung herangezogen werden. Patienten mit 4 oder mehr Kopien des SMN2-Gens waren in der Zulassungsstudie eingeschlossen. Allerdings war unklar, wie viele davon genau 4 SMN2-Genkopien haben und damit der Patientengruppe 3 entsprechen. Ungeachtet dessen lagen aber auch hier analog zur Patientengruppe 1 keinerlei Vergleichsdaten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie vor.

Im Ergebnis sieht der G-BA für alle Patientengruppen einen Zusatznutzen als nicht belegt an. Allerdings erkennt der G-BA für alle Patienten an, dass Risdiplam dennoch eine relevante Therapieoption darstellen kann.

[Beschluss / Tragende Gründe](#)

Orphan Drug Talquetamab bei multiplen Myelom: Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen

Der Wirkstoff Talquetamab [Handelsname: Talvey[®], Hersteller: Janssen-Cilag] ist als Orphan Drug zugelassen zur Behandlung Erwachsener mit rezidiviertem und refraktärem multiplen Myelom, die zuvor bereits mindestens drei Therapien erhalten haben, darunter einen immunmodulatorischen Wirkstoff, einen Proteasom-Inhibitor und einen Anti-CD38-Antikörper, und die während der letzten Therapie eine Krankheitsprogression gezeigt haben. Da der Hersteller für die Nutzenbewertung Daten aus der einarmigen Zulassungsbegründeten

Phase 1/2-Studie vorgelegt hatte, fehlten dem G-BA Vergleichsdaten für eine Nutzenbewertung. Im Ergebnis sieht der G-BA einen Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

[Beschluss / Tragende Gründe](#)

Meropenem/Vaborbactam als Reserveantibiotikum anerkannt

Der G-BA hat die Wirkstoffkombination Meropenem/Vaborbactam [Handelsname: Vaborem®] als Reserveantibiotikum anerkannt. Mit dieser Entscheidung einher geht eine Freistellung von der regulären frühen Nutzenbewertung. Reserveantibiotika zeichnen sich dadurch aus, dass sie ausschließlich zur Behandlung von durch multiresistente bakterielle Krankheitserreger verursachte Infektionen, für die nur eingeschränkte alternative Therapiemöglichkeiten zur Verfügung stehen, wirksam sind und deren Einsatz einer strengen Indikationsstellung unterliegt. Im vorliegenden Fall bezieht sich die Indikationsstellung auf die Behandlung von komplizierten Harnwegsinfekten einschließlich Pyelonephritis, komplizierten intraabdominellen Infektionen, nosokomial erworbenen Pneumonien einschließlich Beatmungspneumonien, Bakteriämien im Zusammenhang mit einer der oben genannten Infektionen sowie auf Infektionen durch aerobe gramnegative Organismen bei Erwachsenen mit eingeschränkten Behandlungsmöglichkeiten.

[Beschluss / Tragende Gründe](#)

STIKO-Impfempfehlungen für COVID-19 und Meningokokken B in Schutzimpfungs-Richtlinie übernommen

Der G-BA hat die kürzlich für das Kalenderjahr 2024 aktualisierten Impfempfehlungen der Ständigen Impfkommission am Robert-Koch-Institut (STIKO) zu COVID-19 in die Schutzimpfungs-Richtlinie aufgenommen (siehe hierzu [Epidemiologisches Bulletin 2/2024](#)).

In einem weiteren Beschluss hat der G-BA die STIKO-Empfehlung für eine zusätzliche Impfung gegen Meningokokken, mit der Säuglinge gegen den in Deutschland am häufigsten auftretenden Typ dieser Bakterien immunisiert werden können, der sogenannten Serogruppe B, in die Schutzimpfungs-Richtlinie aufgenommen. Durch Meningokokken ausgelöste Erkrankungen sind zwar selten – sie können aber gerade im Säuglings- und Kleinkindalter in Form von Hirnhautentzündungen und Sepsis einen schweren Verlauf haben. Die neue Impfempfehlung basiert laut STIKO auf zwischenzeitlich vorliegenden weiteren wissenschaftlichen Ergebnissen, unter anderem zur Impfeffektivität nach abgeschlossener Grundimmunisierung und zur Schutzdauer der Impfung.

Die STIKO empfiehlt, dass Säuglinge frühzeitig – im Alter von 2, 4 und 12 Monaten – gegen Meningokokken der Serogruppe B geimpft werden. Kleinkinder, die diesen empfohlenen Impfzeitraum verpasst haben, sollen die Impfung bis zum 5. Geburtstag nachholen.

Unverändert wird auch weiterhin eine Impfung gegen Meningokokken der Serogruppe C im Alter von 12 Monaten empfohlen (siehe hierzu [Epidemiologisches Bulletin 3/2024](#)).

In eigener Sache

G-BA News Service im Online-Archiv

Auf unserer Website können Sie von nun an die jeweils die aktuelle sowie bis zu sechs vorausgegangenen Ausgaben unseres G-BA News Services abrufen. Sollten Sie eine ältere Ausgabe benötigen, sprechen Sie uns gerne direkt an.

[Hier geht's zum Archiv.](#)

Über die Brunswick Group

Brunswick ist eine der weltweit führenden strategischen Kommunikationsberatungen. Wir unterstützen Unternehmen und Organisationen in erfolgskritischen Situationen und geben Orientierung in einem Umfeld, in dem sich Finanzwelt, Politik und Gesellschaft immer stärker miteinander vernetzen. Wir helfen dabei, vertrauensvolle und nachhaltige Beziehungen mit den unterschiedlichen Zielgruppen aufzubauen und zu entwickeln. Bei der Kapitalmarkt- und Transaktionsberatung sowie bei Krisen- und Mitarbeitendenkommunikation, Cybersecurity und digitaler Transformation, Reputationsmanagement und Public Affairs verlassen sich unsere Kund:innen auf Brunswick, wenn es um Insights, Beratung, Planung, Vorbereitung und Kampagnen geht.

Brunswick ist eine organisch gewachsene, privat geführte Partnerschaft. Gegründet wurde das Unternehmen 1987 in London. Heute arbeiten weltweit 240 Partner und insgesamt mehr als 1.450 Mitarbeitende in 27 Büros. In Deutschland ist Brunswick seit 2001 vertreten und unterhält Büros in Berlin, Frankfurt und München.

Weitere Informationen finden Sie unter www.brunswickgroup.com.

IMPRESSUM

Brunswick Group GmbH

V.i.S.d.P.

Hubert Kümper

Friedrichstraße 95

10117 Berlin

hkuemper@brunswickgroup.com

www.brunswickgroup.com

