

Beträchtlicher Zusatznutzen von Mavacamten bei hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie

In einer Dossierbewertung im Jahr 2023 war ein Zusatznutzen wegen unklarer und fehlender Angaben im Dossier noch nicht zu belegen. Im Stellungnahmeverfahren lieferte der Hersteller Daten nach - mit positivem Ergebnis.

In einem Addendum zu einer Nutzenbewertung hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) erneut untersucht, ob Mavacamten Erwachsenen mit symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie (HOCM) einen Zusatznutzen gegenüber einer Therapie nach ärztlicher Maßgabe bietet.

Die nunmehr vorliegenden Auswertungen zeigen: Es gibt Vorteile bei der Morbidität und der gesundheitsbezogenen Lebensqualität. Insgesamt gibt es daher einen Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen des neuen Wirkstoffs gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Erster spezifischer Wirkstoff im Anwendungsgebiet

Die HOCM ist eine genetische Erkrankung des Herzmuskels, bei der die Wände der linken Herzkammer so stark verdickt sind, dass die Kammer verkleinert ist. Durch die Verengung wird der Ausfluss des Blutes aus dieser Kammer während der Systole behindert (Obstruktion), und es kann zu einem Rückstau in die Lungenvenen kommen. Während manche Betroffene kaum etwas davon bemerken, erfahren andere Leistungsminderungen und weitere Symptome wie Müdigkeit, Atemnot, Brustenge, Herzrhythmusstörungen oder Schwindel. Vor allem jüngere Patientinnen und Patienten haben zudem ein erhöhtes Risiko eines plötzlichen Herztods.

Während schwere Obstruktionen meist operativ beseitigt werden, steht für leichtere Formen und Betroffene mit geringer bis mittlerer Symptomatik neuerdings mit Mavacamten ein Wirkstoff zur Verfügung, der spezifisch den Herzmuskel entspannt. Dadurch soll das Herz weniger stark schlagen und die linke Kammer besser gefüllt und entleert werden.

Entscheidende Angaben zur Studie nachgereicht

In seinem Dossier hatte der Hersteller 2023 Daten aus der placebokontrollierten Studie EXPLORER-HCM eingereicht. Deren Teilnehmerinnen und Teilnehmer erhielten Mavacamten bzw. Placebo jeweils zusätzlich zu nicht gefäßerweiternden Betablockern oder Calciumkanalblockern nach ärztlicher Maßgabe. Ihre körperliche Leistungsfähigkeit war teils leicht, teils stärker eingeschränkt.

Für viele Patientinnen und Patienten blieb allerdings offen, ob die in der Studie eingesetzte Therapie nach ärztlicher Maßgabe sachgerecht war. Im Stellungnahmeverfahren und nach der mündlichen Anhörung hat der Hersteller hierzu Informationen und Auswertungen nachgereicht

Damit ist das Hauptproblem behoben, auch wenn noch einige Unsicherheiten verbleiben. Aus den Studiendaten können daher maximal Anhaltspunkte für einen Zusatznutzen abgeleitet werden.

Vorteile bei Morbidität und gesundheitsbezogener Lebensqualität

In der Kategorie Morbidität gibt es bei zwei Endpunkten einen Anhaltspunkt für einen geringen Zusatznutzen, für einen weiteren Endpunkt einen Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen von Mavacamten plus Therapie nach ärztlicher Maßgabe gegenüber Placebo plus Therapie nach ärztlicher Maßgabe. In der Kategorie gesundheitsbezogene Lebensqualität kommt ein weiterer Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen hinzu. In den Endpunktkategorien Mortalität und Nebenwirkungen gibt es keine Anhaltspunkte für Vor- oder Nachteile des neuen Wirkstoffs.

Zusammenfassend gibt es für Patientinnen und Patienten mit symptomatischer HOCM (NYHA-Klassen II bis III) einen Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen von Mavacamten plus Begleittherapie nach ärztlicher Maßgabe gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

„Das ist ein erfreuliches Ergebnis für dieses erste spezifische HOCM-Arzneimittel“, meint Volker Vervölgyi, Bereichsleiter im IQWiG-Ressort Arzneimittelbewertung. „Und es zeigt: Das AMNOG-Verfahren funktioniert. Durch die nachgelieferten Informationen konnte Transparenz zum Zusatznutzen von Mavacamten hergestellt werden, insbesondere zum positiven Einfluss auf die Lebensqualität. Diese Bewertung wird daher zukünftig auch die Therapieentscheidung vor Ort unterstützen.“

G-BA beschließt über Ausmaß des Zusatznutzens

Die Dossierbewertung ist Teil der frühen Nutzenbewertung gemäß Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz (AMNOG), die der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) verantwortet. Nach der Publikation von Herstellerdossier und IQWiG-Dossierbewertung reichte der Hersteller im Stellungnahmeverfahren ergänzende Informationen nach. Der G-BA beauftragte daraufhin das IQWiG mit deren Bewertung, die das Institut nun in Form eines Addendums vorlegt. Der G-BA fasst einen abschließenden Beschluss über das Ausmaß des Zusatznutzens.

Weitere Informationen des IQWiG:

[zur Projektübersicht](#)

Weitere Informationen des G-BA:

[allgemeine Informationen zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V](#)
[Bewertung von Mavacamten](#)