

Patisiran bei hereditärer Transthyretin-Amyloidose: geringerer Nutzen als Vutrisiran

Patisiran bei hereditärer Transthyretin-Amyloidose: geringerer Nutzen als Vutrisiran

2023 hatte das IQWiG auf Basis einer Studie einen Zusatznutzen von Vutrisiran gegenüber Patisiran festgestellt. Nun führt der Hersteller dieselbe Studie im Dossier zu Patisiran an, interpretiert sie aber ganz anders.

Die hereditäre Transthyretin-vermittelte Amyloidose, kurz hATTR-Amyloidose, ist eine seltene erbliche Erkrankung, bei der fehlerhaft gefaltete Transportproteine aus der Leber lange Fasern bilden, die sich in verschiedenen Organen ablagern. Diese Ablagerungen beeinträchtigen die Funktionsfähigkeit der Organe, etwa des Nervensystems.

Zur Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hATTR-Amyloidose mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 ist neben Vutrisiran, das subkutan gegeben wird, auch Patisiran zugelassen, das intravenös verabreicht wird – und vom selben Hersteller stammt.

Da der Umsatz von Patisiran mit der gesetzlichen Krankenversicherung in den vorangegangenen 12 Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro überstiegen hat, hat der Hersteller nun ein Dossier zum Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie eingereicht. Darin vergleicht er Patisiran ausschließlich mit Vutrisiran.

Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) hat nun die Vor- oder Nachteile von Patisiran gegenüber Vutrisiran untersucht. Das Fazit: Patisiran hat für die Patientinnen und Patienten einen geringeren Nutzen als die zweckmäßige Vergleichstherapie Vutrisiran.

Spiegelbildliche Situation - mit wenig überraschendem Ergebnis

Die Zulassungsstudie, auf die der Hersteller sich beruft, ist dieselbe, auf deren Basis das IQWiG gut ein Jahr zuvor die Vor- und Nachteile von Vutrisiran gegenüber Patisiran bewertet hat. In der Studie HELIOS-A waren die Patientinnen und Patienten 18 Monate lang mit Vutrisiran (alle drei Monate subkutan) oder Patisiran (alle drei Wochen intravenös) behandelt worden. Damals war der Vergleich in mehreren Endpunkten zugunsten von Vutrisiran ausgefallen, sodass das Fazit des IQWiG lautete: Vutrisiran hat gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie einen geringen Zusatznutzen.

In der jetzigen, spiegelbildlichen Situation stand das Bewertungsergebnis daher im Grunde logisch fest: Für Patisiran zeigen sich im Vergleich zu Vutrisiran ausschließlich negative Effekte, und zwar in patientenrelevanten Endpunkten zu schwerwiegenden und schweren unerwünschten Ereignissen. Damit hat Patisiran für Patientinnen und Patienten mit hATTR-Amyloidose mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 einen geringeren Nutzen als Vutrisiran.

Frühe Nutzenbewertung nicht ad absurdum führen

Die Nachteile von Patisiran sind nicht nur statistisch signifikant, sondern auch klinisch bedeutsam, wie der Hersteller in seinem vorigen Dossier selbst feststellte. Damals betonte er das bessere Sicherheitsprofil des subkutan zu verabreichenden Wirkstoffs Vutrisiran – bei ungefähr gleicher Wirksamkeit: Die Vutrisiran-Therapie belastete die Betroffenen deutlich weniger.

Nun versucht er anders zu argumentieren: Die häufigeren Nebenwirkungen, etwa Infektionen oder

Zellulitis an der Infusionsstelle, träten vorwiegend zu Beginn der Behandlung auf. Zugleich sei Patisiran seit Jahren in der Versorgung etabliert, und sowohl die Ärztinnen und Ärzte als auch die Betroffenen seien mit dem Sicherheitsprofil vertraut. Daher sieht der Hersteller ein Unentschieden: keinen Zusatznutzen, aber auch keinen geringeren Nutzen.

„Wenn der 1. FC Köln gegen Bayern München gewonnen hat, dann hat Bayern München verloren und nicht unentschieden gespielt – auch wenn die Bayern das gerne anders hätten“, so der Leiter des IQWiG, Thomas Kaiser. Patisiran habe gegenüber Vutrisiran, dem anderen Arzneimittel aus demselben Haus, nur Nachteile. Es habe also einen geringeren Nutzen. „Jedes andere Bewertungsfazit würde das Verfahren der frühen Nutzenbewertung völlig ad absurdum führen.“

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 Publikation der Dossierbewertung führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch und fasst einen abschließenden Beschluss über das Ausmaß des Zusatznutzens. Einen Überblick über die Ergebnisse der Nutzenbewertung des IQWiG gibt folgende Kurzfassung. Auf der vom IQWiG herausgegebenen Website [gesundheitsinformation.de](https://www.gesundheitsinformation.de) finden Sie zudem allgemein verständliche Informationen.

Originalpublikation:

<https://www.iqwig.de/projekte/a23-118.html>