

Vosoritid bei Achondroplasie: Hinweis auf Zusatznutzen für Kinder ab zwei Jahren

Vosoritid bei Achondroplasie: Hinweis auf Zusatznutzen für Kinder ab zwei Jahren

Zwei kleine RCTs mit Kindern unterschiedlichen Alters erlauben gemeinsam eine Aussage: Der neue Wirkstoff fördert das Längenwachstum.

In einer frühen Nutzenbewertung hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) untersucht, ob Vosoritid Patientinnen und Patienten ab zwei Jahren mit Achondroplasie, bei denen die Epiphysen noch nicht geschlossen sind, einen Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Best supportive Care (BSC) bietet.

Das Fazit: Es gibt einen Hinweis auf einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen. Denn mit dem Wirkstoff behandelte Kinder wachsen stärker als solche, die den Wirkstoff nicht erhalten. Welche Körpergröße sie letztendlich erreichen und inwieweit durch das vermehrte Wachstum die mit der Erkrankung assoziierten Folgekomplikationen und funktionellen Beeinträchtigungen verhindert werden, ist jedoch noch unklar.

Wirkstoff zögert vorzeitige Verknöcherung der Epiphysen hinaus

Achondroplasie ist die häufigste Form des genetisch bedingten Kleinwuchses und geht unter anderem mit verkürzten Gliedmaßen, Rückenschmerzen, aber auch chronischen Infektionen einher. Ursache ist eine frühzeitige Verknöcherung der Epiphysen, also der knorpelig angelegten Längenwachstumszonen an den Enden der Röhrenknochen. Unbehandelt erreichen die Betroffenen meist eine Körpergröße von 120 bis 135 Zentimetern. Bislang gab es keine auf diese seltene Erkrankung zugeschnittene medikamentöse Behandlung; Wachstumshormone etwa wirken hier nicht.

Mit Vosoritid ist nun ein Wirkstoff zugelassen, der die Vermehrung der Knorpelzellen fördert und damit die vorzeitige Verknöcherung der Epiphysen aufhält. Die Therapie wird fortgesetzt, bis die Epiphysen geschlossen sind, also das Längenwachstum abgeschlossen ist.

Die Kinder werden größer

Es gibt Daten aus zwei kleinen RCTs, in denen eine Vosoritid-Behandlung zusätzlich zu BSC mit BSC allein über 52 Wochen verglichen wurde. Zusätzlich legte der Hersteller Langzeitdaten aus 1-armigen Studien vor.

In dem wesentlichen Endpunkt Körpergröße zeigte die Metaanalyse trotz der kleinen Gruppen einen signifikanten Unterschied. Im Alter von 2 bis unter 5 Jahren betrug das durchschnittliche Wachstum mit Vosoritid in 52 Wochen 6,38 cm, im Vergleichsarm 5,41 cm (Differenz: 0,96 cm). Die älteren Kinder wuchsen im Interventionsarm durchschnittlich 5,86 cm und im Vergleichsarm 4,29 cm pro Jahr (Differenz: 1,57 cm). Die unterstützend betrachteten Auswertungen der Langzeitdaten zeigen, dass das Längenwachstum anhält und sich über die Jahre aufaddiert.

Über einen längeren Zeitraum als sieben Jahre können derzeit keine Aussagen getroffen werden, weil zu den späteren Erhebungszeitpunkten noch zu wenig Daten vorliegen. „Daher kann man

derzeit noch nicht genau abschätzen, wie groß die Patientinnen und Patienten letztendlich werden“, erklärt Daniela Preukschat, die im IQWiG-Ressort Arzneimittelbewertung für chronische Erkrankungen zuständig ist. Zudem ist noch unbekannt, inwieweit durch das vermehrte Wachstum die mit der Erkrankung assoziierten Folgekomplikationen und funktionellen Beeinträchtigungen verhindert werden können. Daher lautet das Fazit: Hinweis auf einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen von Vosoritid plus BSC gegenüber BSC allein.

Es deutet sich aber an, dass viele Betroffene eine Körpergröße zwischen 140 cm und 150 cm erreichen können. Damit wären sie nach den gängigen Definitionen zwar kleinwüchsig, aber nicht schwerbehindert. „Dass für eine seltene Erkrankung RCTs durchgeführt werden, ist leider nicht die Regel“, ergänzt Preukschat. „Hier gibt es gleich zwei, und sie haben positive Ergebnisse erbracht.“

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 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.iqwig.de/gesundheitsinformation.de) finden Sie zudem allgemein verständliche Informationen.

Originalpublikation:

<https://www.iqwig.de/projekte/a23-92.html>