

Ein Sieg bleibt ein Sieg

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

Abpfiff – der 1. FC Köln hat gegen Bayern München 3:2 gewonnen. Die FC-Spieler lassen sich von den Fans feiern. Die Bayern-Spieler stehen vor den TV-Kameras und erklären, woran es gelegen hat. Aber unabhängig von den Erklärungen: Am Ende nimmt der 1. FC Köln drei Punkte mit, Bayern München null.

Im Oktober 2022 reicht ein pharmazeutisches Unternehmen im Rahmen des AMNOG-Verfahrens beim IQWiG ein Dossier für die frühe Nutzenbewertung von Vutrisiran ein, einem Wirkstoff bei hereditärer Transthyretin-Amyloidose. Die vorgelegte Studie HELIOS-A zeige einen Zusatznutzen von Vutrisiran gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie mit Patisiran, einem Wirk-

den Studienarmen. Bei den Nebenwirkungen hatte Vutrisiran gegenüber Patisiran positive Effekte (geringerer Schaden). Deshalb bewertete das IQWiG im Januar 2023 und im Anschluss auch der Gemeinsame Bundesausschuss den Vergleich der beiden Wirkstoffe zugunsten von Vutrisiran.

In der aktuellen, spiegelbildlichen Situation stand das Bewertungsergebnis daher im Grunde logisch fest: Für Patisiran zeigen sich im Vergleich zu Vutrisiran negative Effekte, und zwar bei den schwerwiegenden und schweren unerwünschten Ereignissen. Dabei



stoff aus dem gleichen Haus. In der Tat fällt der Vergleich in mehreren Endpunkten zugunsten von Vutrisiran aus, sodass das IQWiG im Januar 2023 schlussfolgert: Vutrisiran hat einen geringen Zusatznutzen gegenüber Patisiran.

Im Dezember 2023 reicht der Hersteller der beiden Wirkstoffe dann beim IQWiG ein Dossier ein für die frühe Nutzenbewertung von Patisiran. Die vorgelegte Studie HELIOS-A zeige keinen Nachteil von Patisiran gegenüber Vutrisiran ...

Es zählt das Ergebnis auf der Anzeigetafel

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

In der Studie HELIOS-A sind die Patientinnen und Patienten 18 Monate lang mit Vutrisiran (alle drei Monate subkutan) oder Patisiran (alle drei Wochen intravenös) behandelt worden. In den Endpunktkategorien Mortalität, Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität zeigten sich dabei keine Effektunterschiede zwischen

sind die Nachteile von Patisiran klinisch bedeutsam, wie der Hersteller in seinem vorigen Dossier selbst festgestellt hatte. Damals betonte er das bessere Sicherheitsprofil des subkutan zu verabreichenden Wirkstoffs Vutrisiran – bei ungefähr gleicher Wirksamkeit: Die Vutrisiran-Therapie belaste 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.

Das IQWiG folgt dieser Argumentation nicht: Für Patientinnen und Patienten mit hATTR-Amyloidose mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 hat Patisiran einen geringeren Nutzen als Vutrisiran, lautet das logische Fazit.

Das Ergebnis auf der Anzeigetafel lässt sich nicht nachträglich ändern.

Jens Flintrop
IQWiG