Zitationshinweis

Stegmaier, P.: „Kein Zusatznutzen aus formalen Gründen", in „Monitor Versorgungsforschung" (04/25), S. 20. http://doi.org/10.24945/MVF.04.25.1866-0533.2744

Details zur Nutzenbewertung von Balversa (Erdafitinib)

Kein Zusatznutzen aus formalen Gründen

„Fernab der Versorgungsrealität und ohne Berücksichtigung der Expertenmeinungen führender Fachgesellschaften", lautet das Fazit von Johnson & Johnson zu dem Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA), der am 18. Juni 2025 Balversa (Erdafitinib) zur Behandlung von metastasierten Blasenkrebs aus formalen Gründen keinen Zusatznutzen bescheinigt hat.

>> Dabei gab es, so das pharmazeutische Unternehmen (pU) Johnson & Johnson in einer aktuellen Stellungnahme, vor der Einführung von Balversa keine adäquate zielgerichtete Therapieoption für Patient:innen mit einem nicht resezierbaren oder metastasierten Urothelkarzinom mit Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-3. Die Bereitstellung einer sicheren, zielgerichteten Therapie ist deshalb „ein wesentlicher Fortschritt für diese kleine, aber vulnerable Patientengruppe, die sich in palliativen Behandlungssituationen befindet". Auch hätte die Phase-III-Studie THOR die Wirksamkeit von Balversa belegen können: mit einem medianen Gesamtüberleben von 12,1 Monaten im Interventionsarm im Vergleich zu 7,8 Monaten in der Kontrollgruppe.

Doch das zählt für den G-BA nicht: Er sieht in seiner Beurteilung (1) das Ausmaß und die Wahrscheinlichkeit eines Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßige Vergleichstherapie (Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin) als nicht belegt an. In seinen „tragenden Gründen" (2) beschreibt der G-BA genau, warum er zu seinem negativen Beschluss gekommen ist.

Erstens: Die Daten der THOR-Studie sind laut G-BA für die Bewertung des Zusatznutzens nicht geeignet. Der Grund: Laut Bundesausschuss wurden im Vergleichsarm der Kohorte 1 die Patient:innen mit einer Chemotherapie (Vinflunin oder Docetaxel) behandelt, was nicht den zweckmäßigen Vergleichstherapien für zwei Patientengruppen entspräche. Somit lägen keine geeigneten Daten für eine Bewertung des Zusatznutzens vor.

Zum Zeitpunkt des Starts der Phase-III-Studie THOR im Jahr 2018 entsprach die Vergleichstherapie dem aktuellen Versorgungsstandard. Kurz vor Verfahrensstart der Nutzenbewertung hat der G-BA im Mai 2024 die zweckmäßige Vergleichstherapie (zVT) jedoch neu definiert. Im Stellungnahmeverfahren haben darum die damit besfassten Fachverbände DGHO und DGU sowohl im Rahmen ihrer beim G-BA eingereichten schriftlichen Stellungnahme als auch in der mündlichen Anhörung vom 5. Mai 2025 deutlich gemacht, dass die zVT-Definition des G-BA nicht der Versorgungsrealität entspricht, und forderten eine Neuorientierung. Der G-BA kann im laufenden Verfahren durchaus die Definition der zVT anpassen, wenn ersichtlich wird, dass diese nicht korrekt ist. Dass der G-BA entgegen der Expertenmeinung an seiner eigenen Definition festhält und die Versorgungsrealität unberücksichtigt lässt, ist aus Sicht von Johnson & Johnson nicht zielführend und widerspricht den Grundsätzen der Nutzenbewertung.

Hier stellt sich die Frage, warum der G-BA den Erkenntnissen zum Versorgungsstandard aus dem Stellungnahmeverfahren nicht folgt.

Zweitens: Zwar würden die im Vergleichsarm der Kohorte 1 eingesetzten Wirkstoffe Vinflunin und Docetaxel – neben Paclitaxel – die zweckmäßige Vergleichstherapie für die Patientenpopulation darstellen, doch bildeten nicht alle Patient:innen der Kohorte 1 die Patientenpopulation a2 ab. Um eine für die Nutzenbewertung relevante Population zu bilden, hätte der pU in seinem Dossier Daten für eine Teilpopulation vorgelegt, die er als Analysepopulation bezeichnete. Hierfür hätte der pU 15 Patient:innen im Interventionsarm und 79 im Vergleichsarm ausgeschlossen: Im Ergebnis würden von den 136 vs. 130 Patient:innen (Erdafitinib vs. Chemotherapie) der Kohorte 1 in der Analyse 121 vs. 51 Patient:innen betrachtet, womit von der Auswertung deutlich mehr im Vergleichsarm als im Interventionsarm ausgeschlossen wurden. Das Vorgehen zur Bildung der Analysepopulation sieht der G-BA als nicht sachgerecht an, weil so die Strukturgleichheit der zu vergleichenden Studienarme gebrochen sei.

Für Johnson & Johnson ist an dieser Stelle nicht nachvollziehbar, weshalb der G-BA die durch das Medizinforschungsgesetz eingeführte 5%-Regelung (§ 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 7 i. V. m. Absatz 3 Satz 5 und 6 SGB V) nicht auf das zugelassene und damit auch bewertungsrelevante Anwendungsgebiet (AWG) bezogen hat. Aus Sicht des G-BA sollten damit in die Berechnung des Anteils der Studienteilnehmenden, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, auch solche Studien einbezogen werden, die nicht im zu bewertenden AWG stattgefunden haben. Dies wäre aus Sicht des pU nicht sachgerecht. Das wäre dann einer der ersten Fälle gewesen, in denen die 5%-Regel überhaupt von Relevanz gewesen und zur Entscheidung gestanden hätte. <<

von: MVF-Chefredakteur Peter Stegmaier

Literatur:

1: https://t1p.de/19141
2: https://t1p.de/03ucx

EMEA-Zulassungsstatus in Europa von Balversa

Land	Status der Erstattung
Deutschland	Erstattung erfolgt: GBA-Beschluss veröffentlicht
Österreich	Erstattung im Einzelfall
Irland	Erstattet
Niederlande	Erstattet
Norwegen	Erstattung: Empfohlen von NoMA
Schweden	Erstattung: Empfohlen von TLV
Schweiz	Erstattet
Spanien	Erstattet
Großbritannien	Erstattet: NICE und SMC werden veröffentlicht
Dänemark	Erstattung: Empfohlen von DMC
Polen	Erstattet
Kroatien	Erstattung im Einzelfall
Russland	Erstattung im Einzelfall
Tschechische Republik	Erstattung im Einzelfall
Königr. Saudi-Arabien	Erstattet
Israel	Erstattet

***Tab. 1:** EMEA-Zulassungsstatus in Europa von Balversa (Erdafitinib)*