

Mavacamten bei symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie

Solvejg Langer, Stuttgart

Wie lautet die Zulassung?

Mavacamten wird bei erwachsenen Patienten mit symptomatischer (New York Heart Association Klassifizierung [NYHA], Klasse II–III) hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie (HOCM) angewendet.

Die HOCM ist eine genetisch bedingte Form der Kardiomyopathie, bei der die Muskulatur der linken Herzkammer krankhaft verdickt ist. Während viele Patienten beschwerdefrei sind, kommt es bei einigen zu Leistungsminderungen, Müdigkeit, Atemnot und weiteren Symptomen.

Wie lautet der Beschluss des G-BA?

Der G-BA sieht für Mavacamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie einen Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen.

Was war die zweckmäßige Vergleichstherapie?

Zweckmäßige Vergleichstherapie ist die Behandlung nach ärztlicher Maßgabe unter Berücksichtigung von nichtvasodilatierenden Betablockern, Verapamil und Diltiazem.

Wie ist die Studienlage?

Für die Nutzenbewertung lag die doppelblinde, randomisierte, kontrollierte Studie EXPLORER-HCM vor. 251 Erwachsene mit symptomatischer HOCM der NYHA-Klassen II oder III erhielten 1:1 randomisiert Mavacamten oder Placebo und ggf. zusätzlich eine patientenindividuelle leitliniengerechte medikamentöse Begleittherapie. Die Behandlungsphase

mit Mavacamten oder Placebo lief über 30 Wochen, gefolgt von einer achtwöchigen Nachbeobachtungsphase.

Für die Nutzenbewertung wurden nur diejenigen Patienten berücksichtigt, die zusätzlich eine der zweckmäßigen Vergleichstherapien erhalten hatten (210 Teilnehmer). Wer vasodilatierende Betablocker oder andere Calciumkanalblocker als Verapamil und Diltiazem erhielt, wurde aus der Bewertung ausgeschlossen.

Es zeigten sich statistisch signifikante Vorteile für Mavacamten hinsichtlich der Morbidität, gemessen anhand verschiedener Fragebögen zur Symptomatik und Symptomschwere. Auch hinsichtlich der gesundheitsbezogenen Lebensqualität war Mavacamten der zweckmäßigen Vergleichstherapie überlegen.

Warum hat der G-BA so entschieden?

Aufgrund der Vorteile bei der Morbidität und der gesundheitsbezogenen Lebensqualität ohne gleichzeitige Nachteile in anderen Endpunktkategorien sieht der G-BA für Mavacamten einen *beträchtlichen Zusatznutzen*.

Das IQWiG hatte bei der Dossierbewertung im Jahr 2023 noch entschieden, Mavacamten keinen Zusatznutzen zuzusprechen. Grund war, dass bei einer Vielzahl von Patienten nicht klar war, ob die in der Studie zusätzlich zu Mavacamten bzw. Placebo verabreichte Therapie nach ärztlicher Maßgabe wirklich sachgerecht war. Nun hat der Hersteller aber entscheidende Angaben zur Studie, die Be-

wertungsgrundlage war, nachgereicht. Damit war der Hauptgrund für die Bewertung „kein Zusatznutzen“ ausgeräumt. Da weitere Unsicherheiten bestehen, ergibt sich nur ein *Anhaltspunkt* für den Zusatznutzen [1]. Das Verzerrungspotenzial auf Studienebene stuft der G-BA als niedrig ein, aber es bestehen beispielsweise Unsicherheiten darüber, wie viele Studienteilnehmer Mavacamten zuzulassungskonform erhielten. So war unter anderem in der Studie eine Dosiserhöhung früher möglich als dies laut Zulassung vorgesehen ist. Zudem war nicht klar, ob die Teilnehmer vor Studienbeginn sowie im weiteren Studienverlauf optimal auf die Begleittherapie eingestellt waren.

Quelle

Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) Mavacamten (Symptomatische hypertrophe obstruktive Kardiomyopathie [NYHA Klasse II–III]). 1. Februar 2024.

Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) Mavacamten (Symptomatische hypertrophe obstruktive Kardiomyopathie [NYHA Klasse II–III]). 1. Februar 2024.

Literatur

1. IQWiG. *Beträchtlicher Zusatznutzen von Mavacamten bei hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie*. https://www.iqwig.de/presse/pressemitteilungen/pressemitteilungen-detailseite_110464.html (Zugriff am 2. Februar 2024)