

I 1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Patiromer gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 01.02.2024 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Patiromer im Vergleich mit Polystyrolsulfonaten (Kalzium-Polystyrolsulfonat [CaPSS] oder Natrium-Polystyrolsulfonat [NaPSS]) als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei Kindern und Jugendlichen ab 12 Jahren mit Hyperkaliämie.

Aus der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA ergibt sich die in Tabelle 2 dargestellte Fragestellung.

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Patiromer

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a
Kinder und Jugendliche ab 12 Jahren mit Hyperkaliämie ^b	Polystyrolsulfonate (CaPSS oder NaPSS)

a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.
b. Es wird vorausgesetzt, dass die Patientinnen und Patienten im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht unter einer potentiell lebensbedrohenden und daher notfallmäßig zu behandelnden Hyperkaliämie leiden. Für die Notfallbehandlung stehen andere therapeutische Maßnahmen zur Verfügung. Weiterhin wird davon ausgegangen, dass bei dem Patientenkollektiv mit Hyperkaliämie zuerst allgemeine Interventionen zur Normalisierung der Serum-Kaliumwerte (Optimierung der Behandlung der Grund- und Begleiterkrankungen, insbesondere die Anpassung der medikamentösen Therapie, sowie ggf. eine Ernährungsumstellung) durchgeführt werden. Nur wenn diese Versuche ohne Erfolg bleiben und eine interventionsbedürftige Hyperkaliämie fortbesteht, kommt die spezifische medikamentöse Therapie der Hyperkaliämie infrage. Dies gilt für den Einsatz von Patiromer ebenso wie für Polystyrolsulfonate.

CaPSS: Kalzium-Polystyrolsulfonat; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; NaPSS: Natrium-Polystyrolsulfonat

Der pU folgt nicht der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA. Aus Sicht des pU bilden die Polystyrolsulfonate (CaPSS und NaPSS) die zweckmäßige Vergleichstherapie für die pädiatrische Population nicht adäquat ab. Der pU bezieht sich auf die vorangegangenen Nutzenbewertungen zu Patiromer und Natrium-Zirkonium-Cyclosilikat (das Anwendungsgebiet bezieht sich jeweils auf erwachsene Patientinnen und Patienten mit Hyperkaliämie), für die der G-BA jeweils eine patientenindividuelle Therapie nach Maßgabe des Arztes festgelegt hat. Laut Angaben des pU bilden die Empfehlungen in aktuellen Leitlinien zum Management einer Hyperkaliämie ebenso die patientenindividuelle Therapie nach Maßgabe des Arztes ab und Polystyrolsulfonate würden nur eingeschränkt oder gar nicht zur

medikamentösen Therapie empfohlen. Darüber hinaus führt der pU an, dass die Polystyrolsulfonate CaPSS und NaPSS vor Inkrafttreten des Arzneimittelgesetzes zugelassen wurden und gerade für die Behandlung einer Hyperkaliämie bei Kindern eine evidenzbasierte Datengrundlage für die Zulassung dieser Substanzen fehle

Die Abweichung des pU von der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA wird nachfolgend nicht weiter kommentiert, da der pU keine geeigneten Daten für die Nutzenbewertung vorlegt, weder gegenüber der von ihm benannten Vergleichstherapie, noch gegenüber der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie. Die Bewertung erfolgt gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die Ableitung des Zusatznutzens werden randomisierte kontrollierte Studien (RCT) mit einer Mindestdauer von 24 Wochen herangezogen. Dies entspricht den Einschlusskriterien des pU.

Ergebnisse

Durch die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools wurde keine relevante Studie identifiziert.

Der pU schließt in seine Nutzenbewertung die 1-armige Studie EMERALD ein und gibt an, die Ergebnisse dieser Studie als bestverfügbare Evidenz deskriptiv darzustellen. In die Studie sollten Kinder im Alter von 2 bis 17 Jahren mit chronischer Nierenerkrankung und Hyperkaliämie mit einem Serumkaliumspiegel von 5,1 bis < 6,5 Milliäquivalenten (mEq)/l eingeschlossen werden. Die Patientinnen und Patienten sollten voraussichtlich eine Behandlung der Hyperkaliämie für mindestens 6 Monate benötigen. Die Studie umfasste 3 Alterskohorten, wobei in die für die vorliegende Bewertung relevante Kohorte der 12- bis 17-jährigen 14 Patientinnen und Patienten eingeschlossen wurden. Alle Patientinnen und Patienten wurden mit Patiromer behandelt. Die Behandlung erfolgte über insgesamt 26 Wochen, wobei die ersten 14 Tage zur individuellen Dosisfindung dienten. Primärer Endpunkt war die Veränderung des Serumkaliumspiegels von Studienbeginn bis Tag 14. Als weitere Endpunkte wurden unerwünschte Ereignisse erhoben.

Da in der Studie EMERALD kein Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA vorliegt, ist die Studie für die Nutzenbewertung nicht geeignet.

Ergebnisse zum Zusatznutzen

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Patiromer zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen ab 12 Jahren mit Hyperkaliämie liegen im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie keine geeigneten Daten vor. Es ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen

Zusatznutzen von Patiomer gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit nicht belegt.

Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen

Tabelle 3 zeigt eine Zusammenfassung von Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens von Patiomer.

Tabelle 3: Patiomer – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie^a	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
Kinder und Jugendliche ab 12 Jahren mit Hyperkaliämie	Polystyrolsulfonate (CaPSS oder NaPSS) ^b	Zusatznutzen nicht belegt
<p>a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.</p> <p>b. Es wird vorausgesetzt, dass die Patientinnen und Patienten im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht unter einer potentiell lebensbedrohenden und daher notfallmäßig zu behandelnden Hyperkaliämie leiden. Für die Notfallbehandlung stehen andere therapeutische Maßnahmen zur Verfügung. Weiterhin wird davon ausgegangen, dass bei dem Patientenkollektiv mit Hyperkaliämie zuerst allgemeine Interventionen zur Normalisierung der Serum-Kaliumwerte (Optimierung der Behandlung der Grund- und Begleiterkrankungen, insbesondere die Anpassung der medikamentösen Therapie, sowie ggf. eine Ernährungsumstellung) durchgeführt werden. Nur wenn diese Versuche ohne Erfolg bleiben und eine interventionsbedürftige Hyperkaliämie fortbesteht, kommt die spezifische medikamentöse Therapie der Hyperkaliämie infrage. Dies gilt für den Einsatz von Patiomer ebenso wie für Polystyrolsulfonate.</p> <p>CaPSS: Kalzium-Polystyrolsulfonat; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; NaPSS: Natrium-Polystyrolsulfonat</p>		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.