

## Kontakte:

**Christian Hansen**  
Country Manager  
Alnylam Germany GmbH  
[chansen@alnylam.com](mailto:chansen@alnylam.com)



**Julia Dort, AIDGENCY GmbH**  
[julia.dort@the-aidgency.de](mailto:julia.dort@the-aidgency.de)

## **Erstattungsbetrag und Praxisbesonderheit für RNA-Interferenz- Therapeutikum AMVUTTRA® (Vutrisiran) vereinbart**

- *Alnylam Germany GmbH und der Spitzenverband Bund der Krankenkassen (GKV-Spitzenverband) haben sich auf einen Erstattungsbetrag für Vutrisiran zur Behandlung der hereditären Transthyretin-Amyloidose (hATTR-Amyloidose) bei erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 geeinigt.<sup>1</sup>*
- *AMVUTTRA® ist bei einer Verordnung im Anwendungsgebiet Erwachsene mit hATTR-Amyloidose mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 seit dem 15.04.2023 als bundesweite Praxisbesonderheit anerkannt.<sup>1</sup>*
- *Vutrisiran wurde am 15.10.2022 in Deutschland eingeführt. Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat dem Arzneimittel im April 2023 einen „Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen“ gegenüber Patisiran attestiert“.<sup>2</sup>*

**München, 07. Februar 2024** – Die Alnylam Germany GmbH hat mit dem Spitzenverband der gesetzlichen Krankenversicherungen (GKV-SV) erfolgreich einen Erstattungsbetrag für AMVUTTRA® (Vutrisiran) verhandelt.<sup>1</sup> Vutrisiran wird zur Behandlung der hereditären Transthyretin-Amyloidose (hATTR-Amyloidose) bei erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 angewendet. Der Erstattungsbetrag für Vutrisiran gilt rückwirkend ab dem 15.04.2023.

Bestandteil des Verhandlungsergebnisses ist die Anerkennung der Verordnungen von AMVUTTRA® als bundesweite Praxisbesonderheit in der Indikation Erwachsene mit hATTR-Amyloidose mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 seit dem 15.04.2023. Der genaue Inhalt der Praxisbesonderheit, welcher auf der Seite des GKV-Spitzenverbandes veröffentlicht ist, ist im Anhang wörtlich wiedergegeben.<sup>1</sup>

„Im Interesse aller Patientinnen und Patienten freuen wir uns, eine einvernehmliche Vertragslösung erzielt zu haben“, kommentiert Christian Hansen, Geschäftsführer von Alnylam Germany. „Die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit einer hATTR-Amyloidose und Polyneuropathie, die unter den verheerenden Folgen dieser degenerativen und rasch fortschreitenden Erkrankung leiden, hat sich mit Vutrisiran signifikant

verändert. Dies wird auch durch den vom Gemeinsamen Bundesausschuss attestierten Zusatznutzen von Vutrisiran unterstrichen. Für eine gute Versorgung bei seltenen Erkrankungen wie der hATTR-Amyloidose reicht der Zugang zu innovativen Therapien allein jedoch nicht aus. Es braucht weiterhin mehr Aufklärung sowie verbesserte Versorgungsstrukturen in der Fläche. Denn sowohl eine frühe Diagnose als auch ein rechtzeitiger Beginn der Behandlung sind essenziell für die Krankheitsprognose der Patientinnen und Patienten.“

AMVUTTRA® (Vutrisiran) wurde im September 2022 als Orphan Drug in der Europäischen Union zugelassen<sup>3,4</sup> und am 15.10.2022 in Deutschland in Verkehr gebracht. Den Ausgangspunkt für die Verhandlungen zum Erstattungsbetrag bildete die Nutzenbewertung des Arzneimittels durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA). Der G-BA hat Vutrisiran mit Beschluss vom 06.04.2023 einen „Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen“ gegenüber Patisiran, welches bereits mit einem beträchtlichen Zusatznutzen bewertet wurde<sup>5</sup>, zugesprochen.<sup>2</sup> Die Nutzenbewertung von Vutrisiran basiert auf den Ergebnissen der Zulassungsstudie HELIOS-A.<sup>6,7</sup> Die Resultate belegen unter anderem die statistisch signifikanten Vorteile von Vutrisiran gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Patisiran in der Kategorie Nebenwirkungen.<sup>7</sup> So traten unter Vutrisiran insgesamt weniger schwerwiegende und schwere unerwünschte Ereignisse auf. Zudem gingen aus der G-BA-Bewertung weitere Vorteile von Vutrisiran gegenüber Patisiran im Hinblick auf verschiedene spezifische unerwünschte Ereignisse hervor.<sup>7</sup>

\*\*\*

## **Über hATTR-Amyloidose**

Die hereditäre Transthyretin-vermittelte (hATTR)-Amyloidose ist eine erbliche, fortschreitend beeinträchtigende und unbehandelt potenziell tödlich verlaufende Krankheit, die durch Varianten (d. h. Mutationen) im *TTR*-Gen verursacht wird. Das TTR-Protein wird hauptsächlich in der Leber gebildet und ist normalerweise ein Träger von Vitamin A. Varianten im *TTR*-Gen führen zur Ablagerung von abnormen Amyloid-Proteinen und dadurch zur Schädigung von Geweben und Körperorganen wie peripheren Nerven und Herz. Dies verursacht eine periphere sensomotorische Neuropathie, autonome Neuropathie und/oder Kardiomyopathie sowie weitere Manifestationen der Erkrankung. Die erbliche ATTR stellt einen wichtigen medizinischen Bedarf mit bedeutender Morbidität und Mortalität dar, der weltweit etwa 50.000 Menschen betrifft.

## **Über AMVUTTRA® (Vutrisiran)**

Vutrisiran ist ein RNAi-Therapeutikum, das sich spezifisch gegen die TTR-Messenger-RNA (mRNA) richtet, um diese stumm zu schalten. Vutrisiran blockiert damit die Produktion des Wild-Typ- und des mutierten Transthyretin-(TTR)-Proteins, bevor dieses gebildet wird. Vutrisiran ist seit dem 15.09.2022 zur Behandlung

der hereditären Transthyretin-Amyloidose (hATTR-Amyloidose) bei erwachsenen Patienten mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2 zugelassen. Der Wirkstoff nutzt die Enhanced Stabilization Chemistry (ESC)-GalNAc-Konjugat-Plattform von Alnylam, die für eine erhöhte Wirksamkeit gegenüber Patisiran (gleiche Indikation) und erhöhte metabolische Stabilität entwickelt wurde, um eine vierteljährliche subkutane Verabreichung zu ermöglichen.

## Über RNAi

Als RNA-Interferenz (RNAi) wird ein natürlicher Mechanismus in den Zellen von Lebewesen bezeichnet, welcher der zielgerichteten Abschaltung von Genen dient. Die RNAi ist einer der derzeit vielversprechendsten und sich am schnellsten entwickelnden Bereiche in der Biologie und der Arzneimittelentwicklung. Die Entdeckung der RNAi wurde als „ein bedeutender wissenschaftlicher Durchbruch, der etwa einmal pro Dekade vorkommt“ gefeiert und 2006 mit dem Nobelpreis für Physiologie oder Medizin ausgezeichnet. Eine neue Arzneimittelklasse, die sogenannten RNAi-Therapeutika, nutzt den natürlichen Mechanismus in unseren Zellen. Bei der RNAi verbindet sich siRNA (*small interfering RNA*, engl. für „kleine eingreifende RNA“) mit Ribonukleinsäure-Molekülen und unterbindet deren normale Funktion. siRNA bilden die therapeutische RNAi-Plattform von Alnylam und wirken auf einer, den heutigen Medikamenten vorgeschalteten, Ebene, wo sie für eine Stummschaltung der Messenger-RNA (mRNA) sorgen, d. h. den Überträgern der Bauanleitung für die krankheitsverursachenden Proteine, und so deren Bildung verhindern. Dieser bahnbrechende Ansatz hat das Potenzial, die Behandlung von Patient:innen mit genetischen und anderen Erkrankungen grundlegend zu verändern.

## Über Alnylam Pharmaceuticals

Alnylam (Nasdaq: ALNY) nimmt eine Führungsrolle bei der Übertragung der RNA-Interferenz (RNAi) auf eine ganze Klasse neuer innovativer Medikamente ein, die das Potenzial haben, das Leben von Menschen mit seltenen genetischen oder kardiometabolischen Erkrankungen, infektiösen Lebererkrankungen oder Erkrankungen des zentralen Nervensystems (ZNS) und der Augen entscheidend zu verändern. RNAi-Therapeutika basieren auf wissenschaftlicher Forschung, die mit dem Nobelpreis ausgezeichnet wurde, und bieten einen leistungsfähigen, klinisch validierten Ansatz für die Behandlung einer großen Bandbreite von schwerwiegenden und stark beeinträchtigenden Erkrankungen. Alnylam wurde im Jahr 2002 gegründet und verfolgt die ambitionierte Vision, wissenschaftlich Mögliches mit einer leistungsfähigen Plattform von RNAi-Therapeutika zu realisieren. Alnylam hat RNAi-Therapeutika entwickelt, die für die Behandlung von hATTR-Amyloidose, akuter hepatischer Porphyrie, primärer Hyperoxalurie Typ 1 und primärer Hypercholesterinämie / gemischter Dyslipidämie zugelassen sind. Alnylam besitzt eine umfassende Pipeline von Prüfpräparaten, zu denen sechs Produktkandidaten in der späten Entwicklungsphase gehören. Alnylam arbeitet mit seiner „Alnylam P<sup>5</sup>x25“-Strategie an der Bereitstellung von transformativen Medikamenten zum Wohl von

Patient:innen weltweit, die an seltenen oder auch häufigen Erkrankungen leiden. Durch nachhaltige Innovation und außergewöhnliche finanzielle Leistungsfähigkeit hat das Unternehmen ein führendes Biotech-Profil aufgebaut. Der Hauptgeschäftssitz von Alnylam befindet sich in Cambridge, MA (USA), der Sitz der deutschen Niederlassung befindet sich in München.

\*\*\*

## **Anhang**

### **Anlage zur Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 Satz 1 SGB V zwischen dem GKV-Spitzenverband und Alnylam Netherlands B.V. zum Arzneimittel Amvuttra (Wirkstoff: Vutrisiran) bezüglich der Anerkennung einer Praxisbesonderheit**

Die Verordnungen von Amvuttra (Wirkstoff: Vutrisiran) sind ab dem 15.04.2023 nach § 130b Abs. 2 SGB V von der Prüfungsstelle im Anwendungsgebiet mit einem Zusatznutzen laut G-BA-Beschluss vom 06.04.2023 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheiten anzuerkennen, und nur solange Alnylam Amvuttra in Deutschland vertreibt.

Die Praxisbesonderheit gilt ausschließlich für:

G-BA Beschluss vom 06.04.2023 mit Geltungsbeginn der Praxisbesonderheit ab 15.04.2023. Das Anwendungsgebiet mit Zusatznutzen lautet:

Erwachsene mit hereditärer Transthyretin-Amyloidose (hATTR-Amyloidose) mit Polyneuropathie der Stadien 1 oder 2

Bewertung des G-BA: Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen gegenüber Patisiran

Weitere Anwendungsgebiete oder Patientengruppen von Amvuttra sind hiervon nicht umfasst.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Vutrisiran sollte durch in der Therapie mit Amyloidose erfahrene Ärztinnen und Ärzte erfolgen.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit gilt nicht bei der Anwendung von Amvuttra außerhalb der gesetzlich bestimmten Bedingungen (im Rahmen eines nicht bestimmungsgemäßen Gebrauchs, „off label use“).

Die Ärzte sind hiermit nicht von den einzuhaltenden Vorgaben aus § 12 SGB V und § 9 der Arzneimittelrichtlinie entbunden.

\*\*\*

## Literatur

1. GKV-Spitzenverband. Erstattungsbetragsverhandlungen nach § 130b SGB V – Details zum Wirkstoff Vutrisiran; [https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen\\_nach\\_amnog/ebv\\_130b/wirkstoff\\_1746\\_368.jsp](https://www.gkv-spitzenverband.de/krankenversicherung/arzneimittel/verhandlungen_nach_amnog/ebv_130b/wirkstoff_1746_368.jsp) [Letzter Zugriff: 25.01.2024]
2. G-BA. Beschlusstext des G-BA zu Vutrisiran; [https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5953/2023-04-06\\_AM-RL-XII\\_Vutrisiran\\_D-877.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5953/2023-04-06_AM-RL-XII_Vutrisiran_D-877.pdf) [Letzter Zugriff: 25.01.2024]
3. AMVUTTRA® Fachinformation
4. European Medicines Agency: Amvuttra Orphan Designation EU/3/18/2026
5. G-BA. Beschlusstext des G-BA zu Patisiran; [https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3718/2019-03-22\\_AM-RL-XII\\_Patisiran\\_D-391\\_BAnz.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/39-261-3718/2019-03-22_AM-RL-XII_Patisiran_D-391_BAnz.pdf) [Letzter Zugriff: 25.01.2024]
6. Adams D et al. Amyloid 2023; 30(1):1-9
7. G-BA. Tragende Gründe zu Vutrisiran; [https://www.g-ba.de/downloads/40-268-9413/2023-04-06\\_AM-RL-XII\\_Vutrisiran\\_D-877\\_TrG.pdf](https://www.g-ba.de/downloads/40-268-9413/2023-04-06_AM-RL-XII_Vutrisiran_D-877_TrG.pdf) [Letzter Zugriff: 25.01.2024]