

# 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)

Selumetinib (Neubewertung nach Fristablauf:  
Neurofibromatose ( $\geq 3$  bis  $< 18$  Jahre, Typ 1))

Vom 21. Dezember 2023

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 21. Dezember 2023 beschlossen, die Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die zuletzt durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom 5. Oktober 2023 (BAnz AT 22.01.2024 B2) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

## **I. Die Anlage XII wird wie folgt geändert:**

- 1. Die Angaben zu Selumetinib in der Fassung des Beschlusses vom 3. Februar 2022 (BAnz AT 04.04.2022 B2) werden aufgehoben.**
- 2. Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Wirkstoff Selumetinib wie folgt ergänzt:**

## **Selumetinib**

Beschluss vom: 21. Dezember 2023  
In Kraft getreten am: 21. Dezember 2023  
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

### **Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 17. Juni 2021):**

Die Koselugo-Monotherapie ist bei Kindern ab 3 Jahren und Jugendlichen zur Behandlung von symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1) indiziert.

### **Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 21. Dezember 2023):**

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

### **1. Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise**

Selumetinib ist zugelassen als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbsatz SGB V gilt der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bestimmt gemäß 5. Kapitel § 12 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) i.V. m. § 5 Absatz 8 AM-NutzenV unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise das Ausmaß des Zusatznutzens für die Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht. Diese Quantifizierung des Zusatznutzens erfolgt am Maßstab der im 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien.

Kinder ab 3 Jahren und Jugendliche mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

### **Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise von Selumetinib:**

Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

## Studienergebnisse nach Endpunkten:<sup>1</sup>

### Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n. b.	Es liegen keine Daten im Vergleich zu einer Kontrollgruppe vor.
Morbidität	↑	Es liegen keine Daten im Vergleich zu einer Kontrollgruppe vor. Vorteil im Endpunkt „Veränderung des Tumorzvolumens“.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	n. b.	Es liegen keine Daten im Vergleich zu einer Kontrollgruppe vor.
Nebenwirkungen	n. b.	Es liegen keine Daten im Vergleich zu einer Kontrollgruppe vor.
Erläuterungen: ↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei niedriger/unklarer Aussagesicherheit ↑↑: positiver statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↓↓: negativer statistisch signifikanter und relevanter Effekt bei hoher Aussagesicherheit ↔: kein statistisch signifikanter bzw. relevanter Unterschied ∅: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

Studie SPRINT: laufende, offene, einarmige Phase I/II-Studie

Datenschnitt: 31. März 2021

### Mortalität

Es traten keine Todesfälle in der Studie auf.

### Morbidität

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>Objektive Ansprechrate (ergänzend dargestellt)</b>		
NCI POB	50	34 (68)
ICR	50	Keine Angabe
<b>Progressionsfreies Überleben (PFS) (ergänzend dargestellt)<sup>a</sup></b>		
NCI POB	50	10 (20)
ICR	50	Keine Angabe

<sup>1</sup> Daten aus der Dossierbewertung des G-BA (veröffentlicht am 2. Oktober 2023) sofern nicht anders indiziert.

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%); MW (SD)
<b>Veränderung des Tumorumfanges (beste erreichte prozentuale Volumenreduktion)</b>		
Baseline	50	50; 837,1 (925,01)
NCI POB	50	48; -26,5 (13,56)
ICR	50	Keine Angabe

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>b</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>Globalbeurteilung der klinischen Veränderung mittels GIC, Alter 8 - 18 Jahre, vor Zyklus 13<sup>c</sup></b>		
Tumorschmerz	29	15 (44,1)
Gesamtschmerz	29	12 (35,3)
Tumor-assoziierte Morbidität	29	17 (50,0)

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>b</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>Globalbeurteilung der klinischen Veränderung mittels GIC, Alter 5 - 7 Jahre, vor Zyklus 25<sup>c</sup></b>		
Tumorschmerz	13	8 (57,1)
Gesamtschmerz	13	6 (42,9)
Tumor-assoziierte Morbidität	13	9 (64,3)

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>a</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) <sup>d</sup>
<b>Schlimmster Schmerz Patienten-bestimmtes PN (NRS-11)<sup>e</sup></b>		
Baseline MW (SD)	33	3,4 (3,2)
Vor Zyklus 13 Verbesserung um $\geq 2$ Punkte <sup>f</sup> Verschlechterung um $\geq 2$ Punkte <sup>g</sup>	29	17 (50,0) 0 (0)

Endpunkt	N <sup>b</sup>	Selumetinib		
		Zeit [Sekunden] Median (min; max)	Z-Score für Zeit <sup>h</sup> Median (min; max)	fallengelassene Pegs Median (min; max)
<b>Grooved PEGboard Test (ergänzend dargestellt)</b>				
<b>alle Teilnehmenden - dominante Hand</b>				
Baseline	25	86,1 (41,0; 164,7)	1,1 (-1,0; 12,4)	1 (0; 6)
Vor Zyklus 13	22	-2,46 (-61,3; 202,4)	-0,35 (-12,2; 19,5)	0 (-3; 6)
<b>alle Teilnehmenden - nicht-dominante Hand; N=25</b>				
Baseline	24	100,1 (46,0; 505,9)	2,2 (-0,9; 39,2)	1 (0; 18)
Vor Zyklus 13	21	-11,7 (-121,9; 134,8)	-0,62 (-11,0; 10,1)	0 (-16; 5)
<b>Teilnehmende mit unilateraler PN – beeinträchtigte Hand; N=17</b>				
Baseline	16	88,8 (41,0; 505,9)	1,46 (-0,9; 39,2)	1,5 (0; 18)
Vor Zyklus 13	15	-2,7 (-121,9; 70,4)	-0,50 (-11,0; 0,6)	-1 (-16; 2)
<b>Teilnehmende mit unilateraler PN – nicht-beeinträchtigte Hand; N=17</b>				
Baseline	17	92,5 (41,0; 300,0)	1,78 (-1,0; 12,4)	1 (0; 8)
Vor Zyklus 13	16	-3,6 (-111,0; 202,4)	-0,47 (-12,2; 19,5)	0 (-3; 6)
<b>Teilnehmende mit bilateraler PN – dominante Hand; N=8</b>				
Baseline	8	88,9 (51,0; 137,0)	1,93 (-0,1; 6,8)	0 (0; 1)
Vor Zyklus 13	6	-18,6 (-43,1; 84,0)	-1,28 (-4,1; 11,3)	0 (-1; 0)
<b>Teilnehmende mit bilateraler PN – nicht-dominante Hand; N=8</b>				
Baseline	8	94,2 (46,0; 209,8)	2,14 (-0,2; 6,2)	0 (0; 4)
Vor Zyklus 13	6	5,67 (-12,9; 134,8)	0,92 (-1,2; 10,1)	1 (-1; 5)

Endpunkt	Selumetinib N = 33			
	Baseline		vor Zyklus 13	
	N <sup>b</sup>	MW (SD)	N <sup>b</sup>	LSM [95 %-KI]; p-Wert
<b>PROMIS, Alter: 8 - 18 Jahre, patientenberichtet</b>				
Skala „Mobilität“	23	46,57 (6,54)	20	1,51 [-1,54; 4,57]; 0,327
Skala „Obere Extremitäten“	22	45,95 (12,91)	19	1,70 [-1,15; 4,54]; 0,238

Endpunkt	Selumetinib N = 9			
	Baseline		vor Zyklus 13	
	N <sup>b</sup>	MW (SD)	N <sup>b</sup>	MW (SD)
<b>PROMIS, Alter: 5 - 7 Jahre, elternberichtet</b>				
Skala „Mobilität“	8	35,23 (12,90)	7	3,96 (4,02)
Skala „Obere Extremitäten“	8	36,15 (5,87)	7	1,67 (4,11)

Endpunkt	von PN-betroffenes Auge HOTV (logMAR) N=10		von PN-nicht-betroffenes Auge HOTV (logMAR) N=10	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) <sup>i</sup>	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) <sup>i</sup>
<b>Sehschärfe</b>				
Baseline MW (SD) [logMAR]	5	0,54 (0,38)	7	0,01 (0,11)
Vor Zyklus 37 Verbesserung um ≥ 0,2 logMAR Verschlechterung um ≥ 0,2 logMAR	4	0 (0) 1 (20)	5	0 (0) 0 (0)

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>j</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%) [95 %-KI]
<b>Exophthalmus (ergänzend dargestellt)<sup>k</sup></b>		
Rechtes Auge	7	2 (28,6) [3,7; 71,0]
Linkes Auge	7	5 (71,4) [29,0; 96,3]
von PN beeinträchtigt Auge	7	4 (57,1) [18,4; 90,1]
nicht von PN beeinträchtigt Auge	7	3 (42,9) [9,9; 81,6]

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>b</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>Symptomcheckliste (ergänzend dargestellt)<sup>l,m</sup></b>		
Müdigkeit/Fatigue Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	14 (28,0) 8 (16,0)
Schlafprobleme Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	17 (34,0) 2 (4,0)
Verringerter Appetit Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	9 (18,0) 4 (8,0)
Schwierigkeiten beim Schlucken Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	4 (8,0) 0 (0,0)
Schnarchen Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	13 (26,0) 3 (6,0)
Häufiges Aufwachen in der Nacht Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	16 (32,0) 3 (6,0)

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>b</sup>	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
Husten Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	12 (24,0) 7 (14,0)
Übelkeit Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	2 (4,0) 7 (14,0)
Schwäche Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	11 (22,0) 1 (2,0)
Muskelschmerzen Verbesserung zur Visite vor Zyklus 25 Verschlechterung zur Visite vor Zyklus 25	35	12 (24,0) 1 (2,0)

### Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Selumetinib	
	N <sup>b</sup>	Effektschätzer
<b>Veränderungen des PedsQL-Gesamtwerts, Alter 8 - 18 Jahre; N=34</b>		
Baseline MW (SD)	33	73,9 (20,7)
Verbesserung um ≥ 15 Punkte, vor Zyklus 13 (n (%)) <sup>n</sup>	29	7 (24,1)
<b>Veränderungen des PedsQL-Gesamtwerts, Alter 3 - 7 Jahre; N=16</b>		
Baseline	16	61,0 (18,2)
Verbesserung um ≥ 15 Punkte, vor Zyklus 25 (n (%)) <sup>n</sup>	13	6 (37,5)

### Nebenwirkungen

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>Unerwünschte Ereignisse gesamt (ergänzend dargestellt)</b>		
	50	49 (98)
<b>Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)</b>		
	50	15 (30)
<b>Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad ≥3)</b>		
	50	34 (68)
<b>Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen<sup>o</sup></b>		
	50	6 (12)

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>SUE mit Inzidenz ≥ 5 %</b>		
Infektionen und Infestationen	50	6 (12)
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts	50	4 (8)
Verletzung, Vergiftung und durch Eingriffe bedingte Komplikationen	50	3 (6)
<b>UE CTCAE-Grad 3 oder höher mit Inzidenz ≥ 5 %</b>		
<b>SOC</b>		
PT		
<b>Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts</b>	50	<b>13 (26)</b>
Diarrhö	50	8 (16)
Erbrechen	50	4 (8)
<b>Untersuchungen</b>	50	<b>12 (24)</b>
Kreatinphosphokinase im Blut erhöht	50	3 (6)
Gewicht erhöht	50	4 (8)
<b>Infektionen und parasitäre Erkrankungen</b>	50	<b>10 (20)</b>
Paronchie	50	4 (8)
<b>Erkrankungen der Haut und des subkutanen Gewebes</b>	50	<b>6 (12)</b>
Dermatitis, akneiform	50	3 (6)
<b>Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und des Mediastinums</b>	50	<b>4 (8)</b>
Hypoxie	50	4 (8)
<b>Allgemeine Erkrankungen und Beschwerden am Verabreichungsort</b>	50	<b>4 (8)</b>
Pyrexie	50	4 (8)
<b>Erkrankungen des Nervensystems</b>	50	<b>4 (8)</b>

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
<b>Unerwünschte Ereignisse von besonderem Interesse (AESI)</b>		
Preferred Terms		
<b>Herzinsuffizienz</b>	50	21 (42)
Ejektionsfraktion erniedrigt	50	13 (26)
Peripheres Ödem	50	9 (18)



Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignissen (%)
Periphere Schwellung	50	1 (2)
Rechtsventrikuläre Ejektionsfraktion verringert	50	1 (2)
<b>Effekte der Erythropenie</b>	50	27 (54)
Anämie	50	27 (54)
<b>Effekte der Leukopenie</b>	50	29 (58)
Lymphozytenzahl vermindert	50	15 (30)
Neutrophilenzahl vermindert	50	19 (38)
Leukozytenzahl vermindert	50	11 (22)
<b>Muskelbezogene Effekte</b>	50	44 (88)
Akute Nierenschädigung	50	1 (2)
Kreatinphosphokinase im Blut erhöht	50	39 (78)
Kreatinin erhöht	50	17 (34)
Hypokalzämie	50	15 (30)
Muskuläre Schwäche	50	1 (2)
Muskuloskeletale Schmerzen	50	2 (4)
Myalgie	50	2 (4)
<b>Erkrankungen des Nagels</b>	50	28 (56)
Paronychie	50	28 (56)
<b>Effekte der Entzündung der oralen Mundschleimhaut</b>	50	28 (56)
Cheilitis	50	2 (4)
Geschwürbildung im Mund	50	1 (2)
Stomatitis	50	26 (52)
<b>Epiphysäre Dysplasie</b>	50	0 (0)
<b>Ausschlag, akneiform</b>	50	28 (56)
Dermatitis, akneiform	50	28 (56)
<b>Ausschlag, nicht akneiform</b>	50	38 (76)
Pruritus	50	26 (52)
Ausschlag	50	3 (6)
Ausschlag erythematös	50	1 (2)
Ausschlag, makulopapulös	50	25 (50)
Juckender Ausschlag	50	1 (2)

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignissen (%)
<b>Okuläre Toxizitäten</b>	50	10 (20)
Chorioretinale Narbe	50	1 (2)
Photophobie	50	2 (4)
Netzhautablösung	50	1 (2)
Verschwommenes Sehen	50	7 (14)
Gesichtsfeldausfall	50	1 (2)
Erkrankungen des Glaskörpers	50	1 (2)
<b>Effekte der Thrombozytopenie</b>	50	6 (12)
Thrombozytenzahl vermindert	50	6 (12)

<sup>a</sup> Progression gemäß REINS-Kriterien.  
<sup>b</sup> Anzahl an Personen mit verfügbaren Daten.  
<sup>c</sup> Verbesserung definiert als Erreichen der Antwortkategorien „sehr viel besser“ oder „viel besser“.  
<sup>d</sup> Prozentualer Anteil bezogen auf alle Personen, die geantwortet haben.  
<sup>e</sup> Skalenspannweite von 0 „keine Schmerzen“ bis 10 für „schlimmste vorstellbare Schmerzen“.  
<sup>f</sup> Zu Baseline wiesen 11 Studienteilnehmende (33,3 %) einen Wert < 2 auf und konnten sich demzufolge nicht um 2 Punkte verbessern.  
<sup>g</sup> Zu Baseline wiesen 4 Studienteilnehmende (12,1 %) einen Wert > 8 auf und konnten sich demzufolge nicht um 2 Punkte verschlechtern.  
<sup>h</sup> Alters- (und geschlechts-) standardisierter Z-Score.  
<sup>i</sup> Prozentualer Anteil an Personen bezogen auf die FAS-Subpopulation „Personen mit einer orbitalen PN“ und verfügbaren Daten zu Baseline.  
<sup>j</sup> Patientinnen und Patienten mit PN der Augenhöhle  
<sup>k</sup> Daten aus dem Dossier zu Selumetinib Modul 4A.  
<sup>l</sup> Darstellung der Ergebnisse bis zum Erhebungszeitraum vor Zyklus 25, da die Rücklaufquote vor Zyklus 37 unter 70% liegt.  
<sup>m</sup> Veränderung definiert als Verbesserung oder Verschlechterung um eine Antwortkategorie.  
<sup>n</sup> Darstellung der Ergebnisse bis zum Erhebungszeitraum vor Zyklus 13 bzw. 25, da danach die Rücklaufquote unter 70% lag. Es wurden zusätzlich zu den Responderanalysen für eine Verbesserung um ≥15 Punkte für das Dossier (Modul 4) Post-hoc-Responderanalysen für eine Verschlechterung um ≥ 15 Punkte eingereicht.  
<sup>o</sup> Die Studienteilnehmenden erhielten die Studienmedikation bis zum Auftreten einer Krankheitsprogression, inakzeptabler UE, der Rücknahme der Einverständniserklärung oder der Entscheidung des ärztlichen Prüfungspersonals, je nachdem, was früher auftrat.

**Verwendete Abkürzungen:**  
CTCAE = Common Terminology Criteria for Adverse Events (gemeinsame Terminologiekriterien für unerwünschte Ereignisse); GIC = Global Impression of Change; ICR = Independent Centralized Review; k. A. = keine Angabe; KI = Konfidenzintervall; logMAR = Logarithm of the Minimum Angle of Resolution; LSM = Least Square Mean; MW = Mittelwert; N = Anzahl ausgewerteter Patienten; n = Anzahl Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; n.b. = nicht berechenbar; NCI POB = Pediatric Oncology Branch des National Cancer Institute; PedsQL = Pediatric Quality of Life Inventory; PN = plexiformes Neurofibrom; PROMIS = Patient-Reported Outcomes Measurement Information System; SD = Standardabweichung; SOC = Systemorganklasse

## 2. Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen

Kinder ab 3 Jahren und Jugendliche mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

ca. 510 bis 740 Patientinnen und Patienten

## 3. Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) stellt die Inhalte der Fachinformation zu Koselugo (Wirkstoff: Selumetinib) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 21. August 2023):

[https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/koselugo-epar-product-information\\_de.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/koselugo-epar-product-information_de.pdf)

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Selumetinib soll durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit NF1-bedingten Tumoren erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie oder Fachärztinnen und Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie oder pädiatrische Hämatologie und Onkologie erfolgen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

## 4. Therapiekosten

### Jahrestherapiekosten:

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Selumetinib	96 064,35 € - 288 039,39 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Tabax: 1. Dezember 2023)

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

**5. Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können**

Im Rahmen der Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V werden die folgenden Feststellungen getroffen:

Kinder ab 3 Jahren und Jugendliche mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

- Keine Benennung von in Kombinationstherapie einsetzbaren Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, da es sich bei dem zu bewertenden Wirkstoff um einen in Monotherapie zugelassenen Wirkstoff handelt.

Die Benennung von Kombinationen dient ausschließlich der Umsetzung des Kombinationsabschlages nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmen. Die getroffenen Feststellungen schränken weder den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum ein, noch treffen sie Aussagen über Zweckmäßigkeit oder Wirtschaftlichkeit.

**II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 21. Dezember 2023 in Kraft.**

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter [www.g-ba.de](http://www.g-ba.de) veröffentlicht.

Berlin, den 21. Dezember 2023

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken