



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)

Omaveloxolon (Neubewertung eines Orphan Drugs nach Überschreitung der 30 Millionen Euro-Grenze (Friedreich-Ataxie, ≥ 16 Jahre))

Vom 18. Dezember 2025

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 18. Dezember 2025 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 9. Dezember 2025 (BAnz AT 13.01.2026 B1) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

I. Die Anlage XII wird wie folgt geändert:

1. Die Angaben zu Omaveloxolon in der Fassung des Beschlusses vom 19. September 2024 (BAnz AT 27.11.2024 B2) werden aufgehoben.
2. Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Wirkstoff Omaveloxolon wie folgt ergänzt:

Omaveloxolon

Beschluss vom: 18. Dezember 2025
In Kraft getreten am: 18. Dezember 2025
BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 9. Februar 2024):

Skyclarys wird angewendet zur Behandlung der Friedreich-Ataxie bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 16 Jahren.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 18. Dezember 2025):

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit Friedreich-Ataxie

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

Best Supportive Care

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Omaveloxolon gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit Friedreich-Ataxie

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A25-86), sofern nicht anders indiziert.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
Morbidität	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
Nebenwirkungen	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede; im Detail Nachteil im spezifischen UE „Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts“.

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 MOXle (Teil 2):

- randomisierte kontrollierte doppelblinde Phase-II-Studie
- Omaveloxolon versus Placebo (1:1); vergleichende Behandlungsphase von 48 Wochen

Mortalität

Endpunkt	Omaveloxolon		Placebo		Omaveloxolon vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	
Gesamtmortalität^a					
	51	0 (0)	52	0 (0)	-

Morbidität

Endpunkt	Omaveloxolon			Placebo			Omaveloxolon vs. Placebo
	N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Mittlere Änderung zu Woche 48 MW [95 %-KI]	N	Werte Studienbeginn MW (SD)	Mittlere Änderung zu Woche 48 MW [95 %-KI]	MWD [95 %-KI]; p-Wert
Körperliche Funktionsfähigkeit mittels modified Friedreich's Ataxia Rating Scale (mFARS)^b							
Gesamtscore	50	40,67	50	52	37,81	52	-1,82 [-3,59; -0,06]; 0,043 <u>Hedges' g:</u> -0,42 [-0,84; -0,01]
bulbäre Funktion	50	0,73 (0,50)	-0,08 [-0,18; 0,03]	52	0,63 (0,63)	-0,03 [-0,13; 0,07]	-0,05 [-0,19; 0,10]; -
Koordination der oberen Extremitäten	50	10,75 (3,71)	-0,72 [-1,51; 0,07]	52	9,90 (3,53)	0,11 [-0,62; 0,84]	-0,83 [-1,91; 0,25]; -
Koordination der unteren Extremitäten	50	6,29 (2,58)	-0,13 [-0,73; 0,48]	52	6,25 (2,29)	-0,30 [-0,86; 0,26]	0,17 [-0,66; 1,00]; -
aufrechte Stabilität	50	22,89 (6,53)	-0,11 [-0,88; 0,67]	52	21,02 (7,13)	0,94 [0,22; 1,67]	-1,05 [-2,12; 0,02]; -
Aktivitäten des täglichen Lebens mittels Friedreich's Ataxia-Activities of Daily Living (FA-ADL)^c							
	45	11,03 (4,49)	0,28 [-0,56; 1,12]	51	9,85 (4,72)	1,05 [0,27; 1,84]	-0,78 [-1,93; 0,38] 0,187
Endpunkt	Omaveloxolon			Placebo			Omaveloxolon vs. Placebo
	N	adjustierte Inzidenzrate [95 %-KI]; n _E /N (SD)		N	adjustierte Inzidenzrate [95 %-KI]; n _E /N (SD)		Ratenverhältnis [95 %-KI]; p-Wert
Häufigkeit von Stürzen							
	51	0,04 [0,03; 0,05]; 11,24 (18,98)		52	0,05 [0,03; 0,06]; 15,00 (23,67)		0,82 [0,50; 1,34]; 0,425

Endpunkt	Omaveloxolon		Placebo		Omaveloxolon vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95%-KI]; p-Wert
Allgemeiner Gesundheitszustand mittels Patient Global Impression of Change (PGI-C)^d					
Verbesserung ^e	44	19 (43,2)	51	13 (25,5)	1,69 [0,95; 3,01]; 0,075
Verschlechterung ^f	44	13 (29,5)	51	23 (45,1)	0,66 [0,38; 1,14]; 0,134

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Omaveloxolon		Placebo		Omaveloxolon vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI]; p-Wert ^g
Short Form (36)-Gesundheitsfragebogen (SF-36)					
Körperlicher Summenscore (Physical Component Summary, PCS)					
Verschlechterung ^h	44	3 (7)	51	4 (8)	0,89 [0,21; 3,71]; 0,880
Psychischer Summenscore (Mental Component Summary, MCS)					
Verschlechterung ⁱ	44	3 (7)	51	3 (6)	1,16 [0,25; 5,42]; 0,914

Nebenwirkungen

Endpunkt	Omaveloxolon		Placebo		Omaveloxolon vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI]; p-Wert ^g
Unerwünschte Ereignisse (UE) gesamt (ergänzend dargestellt)					
	51	51 (100)	52	52 (100)	-
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)					
	51	5 (10)	52	3 (6)	1,70 [0,43; 6,74]; 0,531

Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen					
	51	4 (8)	52	2 (4)	2,04 [0,39; 10,65]; 0,530
Spezifische unerwünschte Ereignisse					
Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts (SOC, UE)	51	34 (67)	52	21 (40)	1,65 [1,13; 2,42]; 0,010
<p>a. Die Ergebnisse zur Gesamt mortalität beruhen auf den Angaben zu tödlich verlaufenen UE.</p> <p>b. Die körperliche Funktionsfähigkeit wurde mit dem mFARS in der Version mit einer Gesamtpunktzahl von 93 Punkten (Wertebereich der Skala für den Gesamtscore: 0 bis 93 Punkte) erfasst. Niedrigere Werte bedeuten bessere Symptomatik; negative Effekte bedeuten einen Vorteil für die Intervention.</p> <p>c. Niedrigere Werte bedeuten bessere Symptomatik; negative Effekte bedeuten einen Vorteil für die Intervention (Wertebereich der Skala: 0 bis 36).</p> <p>d. Daten entsprechend Dossier und Beschluss zur Nutzenbewertung von Omaveloxolon vom 19.09.2024.</p> <p>e. Verbesserung ist definiert als < 4 Punkte (jegliche Verbesserung) im PGI-C zu Woche 48.</p> <p>f. Verschlechterung ist definiert als > 4 Punkte (jegliche Verschlechterung) im PGI-C zu Woche 48.</p> <p>g. p-Wert: eigene Berechnung des IQWiG</p> <p>h. Eine Abnahme des Scores um $\geq 9,4$ Punkte zu Woche 48 im Vergleich zum Studienbeginn wird als klinisch relevante Verschlechterung angesehen (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).</p> <p>i. Eine Abnahme des Scores um $\geq 9,6$ Punkte zu Woche 48 im Vergleich zum Studienbeginn wird als klinisch relevante Verschlechterung angesehen (Wertebereich der Skala: 0 bis 100).</p>					
Verwendete Abkürzungen:					
<p>CTCAE = Common Terminology Criteria for Adverse Events (gemeinsame Terminologiekriterien für unerwünschte Ereignisse); FA-ADL = Friedreich's Ataxia-Activities of Daily Living; KI = Konfidenzintervall; mFARS = modified Friedreich's Ataxia Rating Scale; MW = Mittelwert; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n_E = Anzahl der Ereignisse (Summe der Ereignisse über alle Patientinnen und Patienten); n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; PGI-C = Patient Global Impression of Change; RR = Relatives Risiko; SD = Standardabweichung; SE = Standardfehler; SF-36 = Short Form (36)-Gesundheitsfragebogen; SOC = Systemorganklasse; SUE = schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE = unerwünschtes Ereignis; vs. = versus</p>					

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

Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit Friedreich-Ataxie

circa 990 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 Skyclarys (Wirkstoff: Omaveloxolon) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 15. Oktober 2025):

https://www.ema.europa.eu/de/documents/product-information/skyclarys-epar-product-information_de.pdf

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Omaveloxolon sollte durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit Friedreich-Ataxie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit Friedreich-Ataxie

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Omaveloxolon	277 509,74 €
Best Supportive Care	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Best Supportive Care	patientenindividuell unterschiedlich

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 15. Oktober 2025)

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:

Erwachsene und Jugendliche ab 16 Jahren mit Friedreich-Ataxie

Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.

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 18. Dezember 2025 in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 18. Dezember 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken