

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) und

Anlage XIIa – Kombinationen von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V

Givinostat (Duchenne-Muskeldystrophie, ≥ 6 Jahre, Kombination mit einem Corticosteroid)

Vom 22. Januar 2026

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 22. Januar 2026 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 T. Monat JJJJ (BAnz AT TT.MM.JJJJ BX) geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

- I. Die Anlage XII wird in alphabetischer Reihenfolge um den Wirkstoff Givinostat wie folgt ergänzt:**

Givinostat

Beschluss vom: 22. Januar 2026

In Kraft getreten am: 22. Januar 2026

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 6. Juni 2025):

Duvyzat wird zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung angewendet.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 22. Januar 2026):

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

1. Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise

Givinostat 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 G-BA bestimmt gemäß dem 5. Kapitel § 12 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) i.V.m. § 5 Absatz 8 Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (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.

Gehfähige Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise von Givinostat zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung:

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

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

Gehfähige Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

¹ Daten aus der Dossierbewertung des G-BA (veröffentlicht am 15. Oktober 2025) und dem Amendment zur Dossierbewertung vom 12. Dezember 2025, sofern nicht anders indiziert.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Es traten keine Todesfälle auf.
Morbidität	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	Es liegen keine Daten vor.
Nebenwirkungen	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
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 EPIDYS: RCT der Phase III, Givinostat vs. Placebo, Behandlungsdauer 18 Monate

Mortalität

Endpunkt	Givinostat		Placebo		Givinostat vs. Placebo
	N ¹	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N ¹	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] ² p-Wert ²
Todesfälle					
	118	0	61	0	-

Morbidität

Endpunkt	Givinostat			Placebo			Givinostat vs. Placebo
	N ³	Baseline MW (SD)	Änderung zu Woche 72/EOS ⁴ LS Mean [95%-KI] ⁵	N ³	Baseline MW (SD)	Änderung zu Woche 72/EOS ⁴ LS Mean [95%-KI] ⁵	LS-Mean-Differenz [95%-KI] ⁵ ; p-Wert ⁴
Treppensteigen von 4 Stufen (4SC) - Zeit in Sekunden							
	104	3,58 (1,26)	1,40 [1,07; 1,73]	53	3,60 (1,27)	2,13 [1,66; 2,59]	-0,73 [-1,30; -0,15] 0,013
Aufstehen aus der Rückenlage (RFTF) - Zeit in Sekunden							
	85	5,98 (2,42)	2,28 [1,70; 2,87]	44	5,88 (2,25)	3,45 [2,64; 4,27]	-1,17 [-2,18; -0,16] 0,023
10-Meter-Geh-/Lauftest (10-MWT) - Zeit in Sekunden							
	104	5,54 (1,33)	1,08 [0,81; 1,35]	55	5,30 (1,03)	1,63 [1,26; 2,00]	-0,55 [-1,01; -0,10] 0,018
6-Minuten-Gehtest (6-MWT) - Distanz in Meter							
	101	398,9 (70,9)	-47,8 [-56,8; -38,9]	54	393,7(61,4)	-62,4 [-74,7; -50,0]	14,5 [-0,82; 29,9] 0,064
Funktionelle Leistungsfähigkeit (NSAA-Gesamtscore ⁶) - ergänzend dargestellt							
	103	23,9 (5,34)	-3,35 [-4,01; -2,70]	56	24,1 (4,85)	-5,06 [-5,96; -4,16]	1,71 [0,59; 2,83] 0,003

Endpunkt	Givinostat			Placebo			Givinostat vs. Placebo
	N	Ereignisse n (%) ⁷	Mediane Zeit bis zum Ereignis, Monate [95%-KI]	N	Ereignisse n (%) ⁷	Mediane Zeit bis zum Ereignis, Monate [95%-KI]	Hazard Ratio [95%- KI] ⁸ p-Wert ⁸
Zeit bis zum bestätigten Verlust der Aufstehfähigkeit ⁹ – ergänzend dargestellt							
	118	1 (0,9)	n. a.	61	2 (3,3)	n. a.	0,14 [0,01; 2,26] 0,17

Endpunkt	Givinostat		Placebo		Givinostat vs. Placebo
	N	Ereignisse, n (%)	N	Ereignisse, n (%)	RR [95 %-KI] ¹⁰ p-Wert ¹⁰
Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel¹¹ – ergänzend dargestellt					
	117	1 (0,8)	59	2 (3,3)	0,26 [0,02; 2,79]; 0,27

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Es wurden keine Daten zur Lebensqualität erhoben.

Nebenwirkungen

Endpunkt MedDRA-Systemorganklassen/ Preferred Terms/UE von besonderem Interesse	Givinostat		Placebo		Givinostat vs. Placebo
	N ¹	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N ¹	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] ² ; p-Wert ²
Unerwünschte Ereignisse gesamt (ergänzend dargestellt)	118	112 (94,9)	61	57 (93,4)	-
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)	118	8 (6,8)	61	2 (3,3)	2,07 [0,45; 9,44]; 0,35
Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad 3 oder 4)	118	5 (4,2)	61	1 (1,6)	2,58 [0,31; 21,6]; 0,39
Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen	118	4 (3,4)	61	0 (0)	4,69 [0,26; 85,7]; 0,30
Schwere unerwünschte Ereignisse nach MedDRA (mit einer Inzidenz ≥ 5 % in einem Studienarm und statistisch signifikantem Unterschied zwischen den Behandlungsarmen; SOC und PT)					
Keine schweren UE ≥ 5 %					
SUEs nach MedDRA (mit einer Inzidenz ≥ 5 % in einem Studienarm und statistisch signifikantem Unterschied zwischen den Behandlungsarmen; SOC und PT)					
Keine SUE ≥ 5 %					
Unerwünschte Ereignisse von besonderem Interesse (mit statistisch signifikantem Unterschied zwischen den Behandlungsarmen)					
Es wurden keine UE von besonderem Interesse erhoben.					

Endpunkt	Givinostat			Placebo			Givinostat vs. Placebo
	N	Baseline MW (SD)	Änderung zu Woche 72/EOS ³ LS Mean [95%-KI] ⁴	N	Baseline MW (SD)	Änderung zu Woche 72/EOS ³ LS Mean [95%-KI] ⁴	LS-Mean-Differenz [95%-KI] ⁴ ; p-Wert ⁴
Körpergröße (z-Scores)	109	-1,84 (1,08)	0,63 [0,56; 0,70]	58	-1,78 (1,19)	0,71 [0,62; 0,81]	-0,08 [-0,20; 0,04] 0,19
Körpergewicht (z-Scores)	111	-0,37 (1,27)	0,49 [0,43; 0,55]	58	-0,32 (1,50)	0,73 [0,64; 0,81]	-0,24 [-0,34; -0,14] < 0,0001

1. Anzahl entspricht denjenigen Personen, die für die Berechnung der jeweiligen Maßzahlen herangezogen wurden.
2. RR mit zugehörigem 95%-KI und p-Wert basieren auf logistischen Regressionen adjustiert nach Glukokortikoid-Behandlungsregime und Alter zu Baseline. Wenn das Modell nicht konvergiert, wurde die Wald-Methode verwendet.
3. Anzahl der verfügbaren Werte für die Analyse (zu Woche 72), zu Baseline fehlten im Givinostat- und im Kontrollarm maximal Werte von 2 Personen.
4. In die Analysen gingen auch Personen ein, die nach dem erweiterten Visitenzeitfenster (+/- 7 Tage zuzüglich 2 Monate) an der Visite teilnahmen. Der Anteil an Personen, die außerhalb des Analysezeitfensters ± 7 Tage an der Studienvisite teilnahmen, lag bei 24 % im Givinostat- und 33 % im Kontrollarm. Im Median erschienen diese Patienten ca. 14,5 bzw. 15 Tage später zu der Studienvisite.
5. MMRM ohne Imputation unter MAR-Annahme, adjustiert nach den Baseline-Werten des 4SC, RFTF, 10-MWT und 6-MWT, Behandlungsgruppe, Visite, Behandlung*Visite, Patientenalter zum Studienstart und dem Stratifizierungsfaktor Glukokortikoid-Behandlungsregime („Deflazacort tgl.“; „Deflazacort intermittierend“; „Andere Corticosteroide tgl.“; „Andere Corticosteroide intermittierend“).
6. Der NSAA-Gesamtscore (0-34 Punkte) besteht aus 17 Items (0-2 Punkte), die die funktionelle Leistungsfähigkeit bei DMD messen. Höhere Werte zeigen eine bessere funktionelle Leistung an.
7. Analyse anhand imputierter Daten.
8. Cox Proportional Hazards adjustiert nach den Baseline-Werten des 4SC, RFTF, 10-MWT, 6-MWT, Behandlungsgruppe, Alter sowie dem Stratifizierungsfaktor Glukokortikoid-Behandlungsregime.
9. Verlust der Aufstehfähigkeit war definiert als RFTF-Grad 1 („Nicht in der Lage aus der Rückenlage aufzustehen, auch nicht mit Hilfe eines Stuhls“) und NSAA-Score 0b („Nicht in der Lage den Test durchzuführen“) und sollte an 2 konsekutiven Visiten bestätigt werden.
10. RR mit zugehörigem 95%-KI und p-Wert basieren auf logistischen Regressionen adjustiert nach „Alter zu Baseline“ und „Behandlungsgruppe“ sowie dem Stratifizierungsfaktor „Glukokortikoid-Behandlungsregime“. Wenn das Modell nicht konvergiert, wurde die Wald-Methode verwendet.
11. Ein Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel lag vor, wenn zu einer Visite zu einem beliebigen Studienzeitpunkt vor oder zu Studienende (letzte Studienvisite zu Woche 72 / EOS-Visite) folgende Kriterien erfüllt waren: Patient war aufgrund körperlicher Einschränkungen nicht in der Lage den 6-MWT durchzuführen und den 10-MWT in ≤ 30 Sekunden ohne Unterstützung oder Hilfsmittel zu absolvieren ($10\text{-MWT} \leq \text{Grad } 2$). Die Kriterien mussten bei allen darauffolgenden Visiten bis Studienende zu Woche 72 / EOS-Visite vorliegen.

Verwendete Abkürzungen:

4SC = 4-Stair Climb; 6-MWT = 6-Minute Walk Test; 10-MWT = 10-Meter Walk/Run Test; CTCAE = Common Terminology Criteria for Adverse Events (gemeinsame Terminologiekriterien für unerwünschte Ereignisse); DMD = Duchenne Muskeldystrophie; EOS = End Of Study; KI = Konfidenzintervall; LS = Least Squares; MMRM = Mixed Model for Repeated Measures; MW = Mittelwert; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; n. a. = nicht anwendbar; RFTF = Rise From The Floor; RR = Relatives Risiko; (S)UE =(Schwerwiegendes) Unerwünschtes Ereignis; vs. = versus

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

Gehfähige Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

circa 270 – 400 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 Duvyzat (Wirkstoff: Givinostat) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 22. September 2025):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Givinostat sollte durch in der Therapie von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte 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:

Gehfähige Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Givinostat	242 589,82 € - 582 215,57 €
Zusätzlich notwendige GKV-Leistungen	1. Jahr: 3,75 €
	Folgejahre: 1,50 €
<i>Corticosteroid-Behandlung</i>	
Vamorolon	55 593,24 € - 92 655,40 €

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

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:

Gefähigte Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Folgende Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die aufgrund der arzneimittelrechtlichen Zulassung in einer Kombinationstherapie mit Givinostat im Anwendungsgebiet des Beschlusses eingesetzt werden können, werden gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V benannt (Wirkstoffe und Handelsnamen):

- Vamorolon (Agamree)

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.

6. Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V

Bei dem Arzneimittel Duvyzat handelt es sich um ein ab dem 1. Januar 2025 in Verkehr gebrachtes Arzneimittel.

Der Anteil der Prüfungsteilnehmer und -teilnehmerinnen an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, an der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer und -teilnehmerinnen beträgt < 5 % (3,9 %).

Die klinischen Prüfungen des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet wurden somit nicht zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V durchgeführt.

II. In die Anlage XIIa der AM-RL werden folgende Angaben in alphabetischer Reihenfolge eingefügt:

„Wirkstoff des bewerteten Arzneimittels

Givinostat

Beschluss gem. § 35a Absatz 3 SGB V vom

22. Januar 2026

Anwendungsgebiet des Beschlusses

Duvyzat wird zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei gefährigten Patienten ab 6 Jahren zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung angewendet

Patientengruppe

Gefähigte Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Benennung der Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V (Wirkstoffe und Handelsnamen²)

Vamorolon (Agamree)

Geltungsdauer der Benennung (seit... bzw. von... bis)

Seit 22. Januar 2026

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.“

III. Inkrafttreten

- 1. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 22. Januar 2026 in Kraft.**
- 2. Die Geltungsdauer des Beschlusses ist bis zum 1. Februar 2034 befristet.**

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

Berlin, den 22. Januar 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken