

# 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)

Vorasidenib (Astrozytom oder Oligodendrogliom, Grad 2, IDH1-R132- oder IDH2-R172-Mutation, nach chirurgischer Intervention,  $\geq 12$  Jahre  $\geq 40$  kg)

Vom 7. Mai 2026

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 7. Mai 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. In Anlage XII werden in alphabetischer Reihenfolge Angaben zu dem Wirkstoff Vorasidenib wie folgt eingefügt:**

## **Vorasidenib**

Beschluss vom: 7. Mai 2026

In Kraft getreten am: 7. Mai 2026

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

### **Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 17. September 2025):**

Vorasidenib als Monotherapie wird angewendet zur Behandlung von überwiegend nicht kontrastmittelanreichernden Grad 2 Astrozytomen oder Oligodendrogliomen mit einer IDH1-R132-Mutation oder einer IDH2-R172-Mutation bei erwachsenen und jugendlichen Patienten ab 12 Jahren und einem Gewicht von mindestens 40 kg, die nur chirurgische Intervention hatten und keine unmittelbare Strahlen- oder Chemotherapie benötigen.

### **Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 7. Mai 2026):**

Siehe Anwendungsgebiet laut Zulassung.

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

Vorasidenib 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.

Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren und einem Gewicht von mindestens 40 kg mit überwiegend nicht kontrastmittelanreichernden Grad 2 Astrozytomen oder Oligodendrogliomen mit einer IDH1-R132- oder IDH2-R172-Mutation, die nur chirurgische Intervention hatten und nicht unmittelbar eine Strahlen- oder Chemotherapie benötigen

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

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

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

Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren und einem Gewicht von mindestens 40 kg mit überwiegend nicht kontrastmittelanreichernden Grad 2 Astrozytomen oder Oligodendrogliomen mit einer IDH1-R132- oder IDH2-R172-Mutation, die nur chirurgische Intervention hatten und nicht unmittelbar eine Strahlen- oder Chemotherapie benötigen

### Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
Morbidität	↑	Vorteil im Endpunkt Epileptische Anfälle
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	↔	Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
Nebenwirkungen	↓↓	Nachteil bei den schweren UE
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 INDIGO (AG881-C-004)

- Phase-III-RCT, doppelblind, laufend; Vorasidenib versus Placebo
- Datenschnitt: 3. Datenschnitt vom 7. März 2023

### Mortalität<sup>2</sup>

Endpunkt	Vorasidenib		Placebo		Vorasidenib vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	Effektschätzer
<b>Gesamtüberleben</b>					
	168	1 (0,6)	163	0 (0)	k.A. <sup>a</sup>

<sup>1</sup> Daten aus der Dossierbewertung des G-BA (veröffentlicht am 16. Februar 2026) und dem Amendment zur Dossierbewertung vom 10. April 2026, sofern nicht anders indiziert.

<sup>2</sup> Datenschnitt vom 7. März 2023

**Morbidität<sup>2</sup>**

Endpunkt	Vorasicidenib		Placebo		Vorasicidenib vs. Placebo
	N	Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI] <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	N	Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI] <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	HR [95 %-KI] p-Wert <sup>b</sup>
<b>Progressionsfreies Überleben<sup>3</sup></b> (gemäß modifiziertem RANO-LGG – radiologische Beurteilung durch verblindetes, unabhängiges Review) <sup>c</sup>					
	168	n.a. [22,1; n.a.] 54 (32,1)	163	11,4 [11,1; 13,9] 104 (63,8)	0,35 [0,25; 0,49] < 0,001
<b>Symptomatik (PGI-S)</b>					
Es liegen keine geeigneten Daten vor.					
<b>Symptomatik (PGI-F)</b>					
Es liegen keine geeigneten Daten vor.					
<b>Gesundheitszustand (EQ-5D-VAS) (Zeit bis zur ersten Verschlechterung)<sup>d</sup></b>					
	168	n.a. [n.a.; n.a.] 39 (23,2)	163	n.a. [n.a.; n.a.] 31 (19,0)	1,17 [0,73; 1,89] 0,51
Endpunkt	Vorasicidenib		Placebo		Vorasicidenib vs. Placebo
	N	Rate epileptische Anfälle pro Personenjahr [95 %-KI] <sup>e</sup> <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	N	Rate epileptische Anfälle pro Personenjahr [95 %-KI] <sup>e</sup> <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	Rate Ratio [95 %-KI] <sup>e</sup> p-Wert
<b>Epileptische Anfälle</b>					
Rate der epileptischen Anfälle pro Personenjahr <sup>3</sup>	168	4,4 [2,0; 9,4] 53 (31,5)	163	12,5 [5,5; 28,4] 55 (33,7)	0,35 [0,12; 0,99] 0,047

<sup>3</sup> Daten aus Modul 4 des pharmazeutischen Unternehmers zu Vorasicidenib vom 10.11.2025 zum Datenschnitt vom 7. März 2023.

Endpunkt	Vorasicidenib		Placebo		Vorasicidenib vs. Placebo
<b>Tumorvolumen</b> (prozentuale Veränderung zu Zyklus 13; radiologische Beurteilung durch verblindetes, unabhängiges Review); ergänzend dargestellt					
	N	Mittelwert (SD) <i>n (%)</i>	N	Mittelwert (SD) <i>n (%)</i>	
Tumorvolumen zu Baseline (mm <sup>3</sup> )	168	16 204,4 (29 544,8) 167 (99,4)	163	12 819,3 (15 669,5) 163 (100)	-
		LS Mean (SE) <sup>f</sup> [%] <i>n (%)</i>		LS Mean (SE) <sup>f</sup> [%] <i>n (%)</i>	LS-Mean-Differenz [95%-KI] <sup>f</sup> [%] p-Wert
Mittlere prozentuale Veränderung von Baseline zu Zyklus 13	168	0 (3,28) 137 (81,5)	163	36,4 (3,34) 120 (73,6)	-36,4 [-44,7; -28,1] <0,0001

### Gesundheitsbezogene Lebensqualität<sup>2</sup>

Endpunkt	Vorasicidenib		Placebo		Vorasicidenib vs. Placebo
	N	Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI]  <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	N	Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI]  <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	HR [95 %-KI] p-Wert <sup>b</sup>
<b>FACT-Br (Zeit bis zur ersten Verschlechterung)<sup>6</sup></b>					
FACT-Br-Gesamtscore	156	n.a. [n.a.; n.a.] 19 (11,3)	143	n.a. [n.a.; n.a.] 20 (12,3)	0,74 [0,39; 1,41] 0,36
FACT-G	156	n.a. [n.a.; n.a.] 30 (17,9)	143	n.a. [n.a.; n.a.] 29 (17,8)	0,82 [0,49; 1,37] 0,44
FACT-BrS	156	n.a. [n.a.; n.a.] 14 (8,3)	143	n.a. [n.a.; n.a.] 21 (12,9)	0,54 [0,27; 1,08] 0,08

Nebenwirkungen<sup>2</sup>

Endpunkt	Vorarsidenib		Placebo		Vorarsidenib vs. Placebo
	N	Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI] <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	N	Mediane Zeit bis zum Ereignis in Monaten [95 %-KI] <i>Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)</i>	HR [95 %-KI] p-Wert <sup>b</sup>
Unerwünschte Ereignisse ohne erkrankungsbezogene Ereignisse					
<b>Unerwünschte Ereignisse gesamt</b> (ergänzend dargestellt)	167	0,53 [0,49; 0,92] 160 (95,8)	163	0,92 [0,62; 1,28] 153 (93,9)	-
<b>Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)</b>	167	n.a. [n.a.; n.a.] 14 (8,4)	163	n.a. [n.a.; n.a.] 5 (3,1)	1,91 [0,68; 5,36] 0,21
<b>Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad 3 oder 4)</b>	167	n.a. [n.a.; n.a.] 40 (24,0)	163	n.a. [n.a.; n.a.] 20 (12,3)	1,86 [1,09; 3,19] 0,022
<b>Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen</b>	167	k.A.	163	k.A.	k.A.
<p>a. Es wurden keine Effektschätzer (mit dazugehörigem p-Wert) im Dossier vorgelegt. Aufgrund der Anzahl an Ereignissen wird von keinem statistisch signifikanten Unterschied zwischen den Behandlungsarmen ausgegangen.</p> <p>b. HR und 95%-KI aus Cox-Proportional-Hazards-Modell, p-Wert aus Log-Rank-Test; jeweils stratifiziert nach „1p19q-Status (kodeletiert vs. nicht kodeletiert)“ und „Tumorgröße zu Baseline (längster Durchmesser ≥ 2 cm vs. längster Durchmesser &lt; 2 cm)“.</p> <p>c. primärer Endpunkt der Studie INDIGO (AG881-C-004)</p> <p>d. Eine Abnahme des Scores um ≥ 15 % im Vergleich zum Studienbeginn wird als klinisch relevante Verschlechterung angesehen (Skalenspannweite: 0 bis 100).</p> <p>e. Negativ binomiales Regressionsmodell. Das Modell enthält die Anzahl an epileptischen Anfällen zu Baseline, die Behandlungsgruppe und die Stratifizierungsvariablen als fixe Effekte. Der Logarithmus (zur Basis e) der Nachbeobachtungszeit wird als Offset-Variable im Modell verwendet.</p> <p>f. Kaplan-Meier-Schätzung, KI nach Brookmeyer und Crowley. In das MMRM-Modell gehen die Behandlung, die Visite, die Stratifizierungsfaktoren und die Interaktion aus Behandlung und Visite als feste Effekte, die Baseline-Werte als Kovariablen ein.</p> <p>g. Eine Abnahme des Scores um ≥ 15 % der Skalenspannbreite im Vergleich zum Studienbeginn wird als klinisch relevante Verschlechterung angesehen. Dies entspricht jeweils einer Verschlechterung von ≥ 30 Punkten beim FACT-Br-Gesamtscore, von ≥ 16,2 Punkten der FACT-G-Subskala und von ≥ 13,8 Punkten der FACT-BrS-Subskala.</p> <p>Verwendete Abkürzungen: BIRC = Verblindetes unabhängiges Prüfungskomitee; CTCAE = Common Terminology Criteria for Adverse Events (gemeinsame Terminologiekriterien für unerwünschte Ereignisse); EQ-5D-VAS = EQ-5D-VAS: Visuelle Analogskala des EuroQoL 5-Dimension; FACT-Br = Functional Assessment of Cancer Therapy – Brain; FACT-BrS = Functional Assessment of Cancer Therapy – Subskala zu spezifischen Aspekten primärer Gehirntumore; FACT-G = Functional Assessment of Cancer Therapy – General; HR</p>					

= Hazard Ratio; k. A. = keine Angabe; KI = Konfidenzintervall; LS = Least Square; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; n. a. = nicht anwendbar; PGI-F = Patient Global Impression of Frequency; PGI-S = Patient Global Impression of Severity; RANO-LGG = Response Assessment for Neuro-Oncology for Low-Grade Glioma; SUE = Schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE = Unerwünschtes Ereignis; vs. = versus

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

Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren und einem Gewicht von mindestens 40 kg mit überwiegend nicht kontrastmittelanreichernden Grad 2 Astrozytomen oder Oligodendrogliomen mit einer IDH1-R132- oder IDH2-R172-Mutation, die nur chirurgische Intervention hatten und nicht unmittelbar eine Strahlen- oder Chemotherapie benötigen

circa 380 bis 800 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 Voranigo (Wirkstoff: Vorasidenib) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 29. April 2026):

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

Die Einleitung und Überwachung der Therapie mit Vorasidenib soll nur durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit Gliomen erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie, Fachärztinnen und Fachärzte für Neurologie, sowie Fachärztinnen und Fachärzte für Neurochirurgie oder Fachärztinnen und Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie oder pädiatrische Hämatologie und Onkologie und weitere, an der Onkologie-Vereinbarung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte anderer Fachgruppen erfolgen.

## 4. Therapiekosten

### Jahrestherapiekosten:

Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren und einem Gewicht von mindestens 40 kg mit überwiegend nicht kontrastmittelanreichernden Grad 2 Astrozytomen oder Oligodendrogliomen mit einer IDH1-R132- oder IDH2-R172-Mutation, die nur chirurgische Intervention hatten und nicht unmittelbar eine Strahlen- oder Chemotherapie benötigen

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Vorasidenib	257 421,85 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Taxe: 1. März 2026)

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 12 Jahren und einem Gewicht von mindestens 40 kg mit überwiegend nicht kontrastmittelanreichernden Grad 2 Astrozytomen oder Oligodendrogliomen mit einer IDH1-R132- oder IDH2-R172-Mutation, die nur chirurgische Intervention hatten und nicht unmittelbar eine Strahlen- oder Chemotherapie benötigen

- 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 Kombinationsabschlags nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmern. 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 Vorasidenib handelt es sich um ein ab dem 1. Januar 2025 in Verkehr gebrachtes Arzneimittel.

Der Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer 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 Prüfungsteilnehmerinnen -teilnehmer beträgt < 5 Prozent.

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

**II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 7. Mai 2026 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 7. Mai 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss  
gemäß § 91 SGB V  
Der Vorsitzende

Prof. Hecken