

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)

Iptacopan (Neubewertung eines Orphan Drugs nach
Überschreitung der 30 Millionen Euro-Grenze (Komplement-
3-Glomerulopathie)

Vom 4. Juni 2026

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 4. Juni 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 den Angaben zur Nutzenbewertung von Iptacopan gemäß dem Beschluss vom 4. Juni 2026 nach Nummer 5 folgende Angaben eingefügt:

Iptacopan

Beschluss vom: 4. Juni 2026

In Kraft getreten am: 4. Juni 2026

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 31. März 2025):

FABHALTA wird angewendet zur Behandlung erwachsener Patienten mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitor oder bei Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 4. Juni 2026):

Siehe neues Anwendungsgebiet laut Zulassung.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Zweckmäßige Vergleichstherapie:

- Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Iptacopan, allein oder in Kombination mit Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitoren, gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie:

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A25-157), sofern nicht anders indiziert.

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Es traten keine Todesfälle auf.
Morbidität	n.b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	n.b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Nebenwirkungen	↔	Kein für die Nutzenbewertung relevanter Unterschied.
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 **APPEAR-C3G**: randomisierte kontrollierte Studie, Iptacopan vs. Placebo (jeweils in Kombination mit Mycophenolatmofetil und Kortikosteroiden), 6-monatige vergleichende Studiendauer

Mortalität

Endpunkt	Iptacopan + MMF + GC		Placebo + MMF + GC		Iptacopan + MMF + GC vs. Placebo + MMF + GC
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
Gesamt-mortalität ^b	9	0 (0)	9	0 (0)	-

Morbidität

Endpunkt	Iptacopan + MMF + GC		Placebo + MMF + GC		Iptacopan + MMF + GC vs. Placebo + MMF + GC
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
Fatigue (FACIT-Fatigue, PGI-S)	keine geeigneten Daten ^c				
Gesundheitszustand (EQ-5D VAS)	keine geeigneten Daten ^c				
			Iptacopan + MMF + GC	Placebo + MMF + GC	Iptacopan + MMF + GC vs. Placebo + MMF + GC
					MW-Differenz [95 %-KI] p-Wert
<i>Proteinurie – Veränderung ab Baseline in der UPCR zu Monat 6 (FAS) (ergänzend)^e</i>					
<i>N</i> <i>Baseline Mittelwert (SD)</i>			<i>9</i> <i>1,0 (0,8)</i>	<i>9</i> <i>1,0 (0,5)</i>	
<i>N</i> <i>Tag 180 Mittelwert (SD)</i> <i>Tag 180: Adjustierte mittlere Veränderung (SE)</i>			<i>9</i> <i>1,2 (0,6)</i> <i>0,2 (0,1)</i>	<i>9</i> <i>1,2 (0,5)</i> <i>0,2 (0,1)</i>	<i>-0,0 [-0,38; 0,37] 0,979</i>
<i>N</i> <i>Behandlungseffekt insgesamt: LS Mean (SE)</i>			<i>9</i> <i>-0,2 (0,2)</i>	<i>9</i> <i>0,2 (0,2)</i>	<i>-0,4 [-0,89; 0,16] 0,159</i>

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Iptacopan + MMF + GC		Placebo + MMF + GC		Iptacopan + MMF + GC vs. Placebo + MMF + GC
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
SF-36					
körperlicher Summscore (MCS)	keine geeigneten Daten ^c				
psychischer Summscore (MCS)	keine geeigneten Daten ^c				

Nebenwirkungen

Endpunkt	Iptacopan + MMF + GC		Placebo + MMF + GC		Iptacopan + MMF + GC vs. Placebo + MMF + GC
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert ^a
UEs (ergänzend dargestellt)	9	9 (100)	9	8 (88,9)	–
SUEs	9	1 (11,1)	9	1 (11,1)	1,00 [0,07; 13,64]; > 0,999
Abbruch wegen UEs	9	0 (0)	9	0 (0)	–
Infektionen ^d (UE)	9	4 (44,4)	9	4 (44,4)	1,00 [0,36; 2,81]; > 0,999
Infektionen ^d (SUE)	9	0 (0)	9	0 (0)	–

- a. Berechnung des IQWiG von RR, KI (asymptotisch) und p-Wert (unbedingter exakter Test, CSZ-Methode).
- b. Die Ergebnisse zur Gesamtmortalität beruhen auf den Angaben zu tödlich verlaufenen UEs.
- c. großer Unterschied (> 15 Prozentpunkte) zwischen den Anteilen nicht berücksichtigter Patientinnen und Patienten in der Auswertung (zur Begründung siehe Tragende Gründe)
- d. operationalisiert als Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC)
- e. Daten aus dem Dossier des pharmazeutischen Unternehmers

Verwendete Abkürzungen:

FACIT = Functional Assessment of Chronic Illness Therapy; FAS = Full Analysis Set; GC = Glukokortikoide; KI = Konfidenzintervall; LS = Least Square; MMF = Mycophenolatmofetil; MW = Mittelwert; n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens 1) Ereignis; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; RCT = randomisierte kontrollierte Studie; RR = relatives Risiko; SD = SF-36 = Short Form-36 Health Survey; SD = Standardabweichung; SE = Standardfehler; SOC = Systemorganklasse; SUE = schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE = unerwünschtes Ereignis; VAS = visuelle Analogskala

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

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

circa 110 – 230 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 Fabhalta (Wirkstoff: Iptacopan) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 25. März 2026):

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

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers Schulungsmaterial, welches Informationen für medizinisches Fachpersonal und für Patientinnen und Patienten (inkl. Patientenkarte) enthält, zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält insbesondere Informationen und Warnhinweise zum unter Iptacopan erhöhten Risiko einer Infektion mit bekapselten Bakterien.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

Für die Kostendarstellung im Beschluss werden die Kosten für das erste Behandlungsjahr dargestellt.

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Iptacopan	383 152,15 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden	
Mycophenolatmofetil	1 099,79 € - 2 199,58 €
Prednison	26,54 € - 53,07 €
Gesamt:	1 126,33 € - 2 252,65 €

Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte (Stand Lauer-Steuer: 1. April 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 mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

- 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 4. Juni 2026 in Kraft.

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

Berlin, den 4. Juni 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken