

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)

Pegcetacoplan (neues Anwendungsgebiet: Komplement-3-
Glomerulopathie, ≥ 12 Jahre)

Vom 6. August 2026

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 6. August 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 zu den Angaben zur Nutzenbewertung von Pegcetacoplan gemäß dem Beschluss vom 22. November 2024 nach Nummer 5 folgende Angaben eingefügt:**

Pegcetacoplan

Beschluss vom: 6. August 2026

In Kraft getreten am: 6. August 2026

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 15. Januar 2026):

Aspaveli wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3-Glomerulopathie (C3G) oder primärer immunkomplexvermittelter membranoproliferativer Glomerulonephritis (IC-MPGN) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Hemmer, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 6. August 2026):

Aspaveli wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Hemmer, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert.

1. Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise

Pegcetacoplan 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 im Alter von 12 bis 17 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise von Pegcetacoplan:

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

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

Erwachsene und Jugendliche im Alter von 12 bis 17 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
Morbidität	n.b.	Die Daten sind nicht bewertbar.
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	↔	Keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede.
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 VALIANT:

- randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Phase-III-Studie
- verblindete, placebokontrollierte Studienphase über 26 Wochen

Relevante Teilpopulation: Patientinnen und Patienten mit C3G

Mortalität

Endpunkt	Pegcetacoplan		Placebo		Pegcetacoplan vs. Placebo
	N ^a	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N ^a	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert
Gesamtmortalität^b					
	51	1 (2,0)	45	0 (0)	2,65 [0,11; 63,6]; 0,54

¹ Daten aus der Dossierbewertung des G-BA (veröffentlicht am 15. Mai 2026), sofern nicht anders indiziert.

Morbidität

Endpunkt	Pegcetacoplan			Placebo			Pegcetacoplan vs. Placebo
	N	MW (SD)	LS mean (SE)	N	MW (SD)	LS mean (SE)	LS mean ^c [95 %-KI] p-Wert
Proteinurie: Veränderung der log-transformierten FMU-uPCR gegenüber Baseline^d (ergänzend dargestellt)							
<i>Baseline</i>							
	51	7,74 (0,66)		45	7,52 (0,60)		
<i>Woche 26</i>							
	47	6,73 (1,19)		41	7,44 (0,71)		
<i>Veränderung Woche 26 zu Baseline^e</i>							
	51 ^f		-1,06 (-)	45 ^f		0,02 (-)	
<i>Gruppenunterschied der Veränderungen^e</i>							
							-1,07 [-1,37; -0,78]; < 0,0001
Veränderung der eGFR gegenüber Baseline (ergänzend dargestellt)							
<i>Baseline</i>							
	51	77,8 (33,9)		45	90,7 (39,0)		
<i>Woche 26</i>							
	48	74,6 (33,8)		41	83,0 (36,0)		
<i>Veränderung Woche 26 zu Baseline^e</i>							
	51 ^f		-2,5 (2,4)	45 ^f		-7,7 (2,0)	
<i>Gruppenunterschied der Veränderungen^e</i>							
							5,2 [-1,0; 11,4]; 0,10

Endpunkt	Pegcetacoplan			Placebo			Pegcetacoplan vs. Placebo
	N	MW (SD)	LS mean (SE)	N	MW (SD)	LS mean (SE)	LS mean ^c [95 %-KI] p-Wert
Fatigue (FACIT-Fatigue, Peds FACIT-F), WPAI:SHP (Frage 6), EQ-5D-VAS, PGI-C							
keine bewertbaren Daten							

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Pegcetacoplan		Placebo		Pegcetacoplan vs. Placebo
	N ^g	Personen mit Verschlechterung n (%) ^{h, i}	N ^j	Personen mit Verschlechterung n (%) ^{h, i}	RR [95 %-KI] p-Wert ^k
KDQOL-36^l					
Domäne „Krankheitslast der Nierenkrankheit“					
	51	11 (21,6)	45	7 (15,5)	1,39 [0,59; 3,27]; 0,46
Domäne „Symptome und Probleme der Nierenkrankheit“					
	51	6 (11,8)	45	0 (0)	11,5 [0,67; 198,6]; 0,09
Domäne „Auswirkungen der Nierenkrankheit“					
	51	8 (15,7)	45	7 (15,6)	1,02 [0,40; 2,58]; 0,97
Domäne „Physical Component Summary“ (PCS)					
	51	0 (0)	45	0 (0)	-
Domäne „Mental Component Summary“ (MCS)					
	51	4 (7,8)	45	1 (2,2)	3,53 [0,41; 30,4]; 0,25

Nebenwirkungen

Endpunkt MedDRA-Systemorganklassen/ Preferred Terms/UE von besonderem Interesse	Pegcetacoplan		Placebo		Pegcetacoplan vs. Placebo
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)	RR [95 %-KI] p-Wert
Unerwünschte Ereignisse gesamt (ergänzend dargestellt)	51	41 (80,4)	45	41 (91,1)	-
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)	51	5 (9,8)	45	4 (8,9)	1,10 [0,32; 3,86]; 0,88
Schwere unerwünschte Ereignisse^m	51	2 (3,9)	45	3 (6,7)	0,59 [0,10; 3,36]; 0,55
Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen	51	2 (3,9)	45	2 (4,4)	0,88 [0,13; 6,01]; 0,90
Schwere unerwünschte Ereignisse nach MedDRA (mit einer Inzidenz ≥ 5 % in einem Studienarm und statistisch signifikantem Unterschied zwischen den Behandlungsarmen; SOC und PT)					
Keine signifikanten Unterschiede					
SUEs nach MedDRA (mit einer Inzidenz ≥ 5 % in einem Studienarm und statistisch signifikantem Unterschied zwischen den Behandlungsarmen; SOC und PT)					
Keine signifikanten Unterschiede					
a. Die Anzahl entspricht denjenigen Personen, die für die Berechnung der jeweiligen Maßzahlen herangezogen wurden. b. Todesfälle wurden über die Sicherheit kontinuierlich erhoben. c. Das MMRM verwendet feste kategoriale Effekte für Behandlungsgruppe, Visite, Krankheitstyp, Einnahme von Immunsuppressiva zu Studienbeginn, Stratifizierungsfaktoren und die Interaktion zwischen Visite und Behandlungsgruppe sowie die kontinuierliche, feste Kovariate des logarithmisch transformierten uPCR-Werts zu Studienbeginn. d. Primärer Endpunkt der Studie VALIANT. e. Die Angaben zu Veränderungen werden vorliegend zu den Werten der Wochen 24–26 gezogen, wie präspezifiziert für die primäre Analyse. f. Imputierte Werte. Wie sich die fehlenden Werte auf die Populationen C3G und IC-MPGN verteilen, ist nicht berichtet. g. Anzahl der Personen in der Analyse beruht auf imputierten Werten. Die Anzahl der Personen mit C3G mit imputierten Werten im Pegcetacoplan-Arm beträgt 13 (25,5 %). h. Veränderung des Scores um ≥ 15 Punkte, entsprechend 15 % der Skalenspannweite. i. Personen mit einem Baseline-Wert von ≤ 15 Punkten, die im Studienverlauf somit keine Verschlechterung um mind. 15 Punkte gegenüber dem Baseline-Wert zeigen konnten, wurden als Non-Responder gezählt. j. Anzahl der Personen in der Analyse beruht auf imputierten Werten. Die Anzahl der Personen mit C3G mit imputierten Werten im Placebo-Arm beträgt 13 (28,9 %). k. Die Berechnung des RR und zugehörigen 95%-KI sowie des p-Werts (Wald-Test) wurde post hoc mittels logistischer Regression mit Behandlungsgruppe, den studienspezifischen Stratifikationsfaktoren (Rezidiv nach Transplantation (ja vs. nein); Nierenbiopsie zu Baseline (ja vs. nein)) sowie dem Baseline-Wert als Kovariaten geschätzt. l. Die Skalenspannweite beträgt 0–100. Höhere Werte zeigen eine bessere Lebensqualität an. m. Es wurden studieneigene Kriterien zur Schweregradeinteilung verwendet.					

Verwendete Abkürzungen:

C3G = C3-Glomerulopathie; IC-MPGN = Immunkomplexvermittelte membranproliferative Glomerulonephritis; FMU = Erster Morgenurin; ITT = Intention to Treat; KDQOL-36 = Kidney Disease Quality of Life instrument – 36 items; KI = Konfidenzintervall; KSS = Kidney Summary Score; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; n. b. = nicht berechenbar; n. e. = nicht erreicht; pU = pharmazeutischer Unternehmer; RR = Relatives Risiko; (S)UE = (Schwerwiegendes) Unerwünschtes Ereignis; uPCR = Urin-Protein-Kreatinin-Ratio; vs. = versus

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

Erwachsene und Jugendliche im Alter von 12 bis 17 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

circa 180 – 370 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 Aspaveli (Wirkstoff: Pegcetacoplan) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 12. März 2026):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Pegcetacoplan muss durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit renalen Erkrankungen erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

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. Patientenausweis) enthält, zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält insbesondere Informationen und Warnhinweise zum unter Pegcetacoplan erhöhten Risiko einer Infektion mit bekapselten Bakterien.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

Erwachsene und Jugendliche im Alter von 12 bis 17 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Pegcetacoplan	362 401,56 €

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

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 6. August 2026 in Kraft.

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

Berlin, den 6. August 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk