

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)

Selumetinib (Neues Anwendungsgebiet: Neurofibromatose
Typ 1 (≥ 1 bis < 3 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 Selumetinib gemäß dem Beschluss vom 7. Mai 2026 zu dem Anwendungsgebiet „Neurofibromatose Typ 1 (≥ 18 Jahre)“ nach Nummer 5 folgende Angaben eingefügt:**

Selumetinib

Beschluss vom: 6. August 2026

In Kraft getreten am: 6. August 2026

BAnz AT TT. MM JJJJ Bx

Neues Anwendungsgebiet (laut Zulassung vom 9. Januar 2026):

Die Koselugo-Monotherapie ist bei Patienten im Alter von 1 Jahr bis unter 7 Jahren und bei älteren Patienten mit Schluckschwierigkeiten zur Behandlung von symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1) indiziert.

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

Die Koselugo-Monotherapie ist bei Patienten im Alter von 1 Jahr bis unter 3 Jahren zur Behandlung von symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1) indiziert.

1. Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

Kinder zwischen 1 Jahr und unter 3 Jahren mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Selumetinib als Monotherapie:

- Best-Supportive-Care

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens von Selumetinib gegenüber Best-Supportive-Care:

Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen

Studienergebnisse nach Endpunkten:¹

Kinder zwischen 1 Jahr und unter 3 Jahren mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

Zusammenfassung der Ergebnisse relevanter klinischer Endpunkte

Endpunktkategorie	Effektrichtung/ Verzerrungspotential	Zusammenfassung
Mortalität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Morbidität	↑	Vorteil im Endpunkt „Veränderung des Tumorzvolumens“ (im Vergleich zu Baseline).
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
Nebenwirkungen	n. b.	Es liegen keine bewertbaren Daten vor.
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 Ø: Es liegen keine Daten vor. n. b.: nicht bewertbar		

Studie SPRINKLE: laufende, offene, einarmige Phase I/II-Studie

2. Datenschnitt: 16.12.2025

Studienpopulation: Kinder zwischen 1 Jahr und unter 7 Jahren mit symptomatischen, inoperablen PN bei NF1

Relevante Teilpopulation: Kinder zwischen 1 Jahr und unter 3 Jahren

Mortalität

Es traten keine Todesfälle in der Studie auf.

Morbidität

Endpunkt	Selumetinib		
	N	Volumen zu Studienbeginn in ml MW (SD)	Prozentuale Veränderung MW (SD)
Volumenänderung der Zielläsion: beste erreichte Volumenänderung^a			
	13	37,84 (40,27)	-9,61 (20,86)

¹ Daten aus der Dossierbewertung des IQWiG (A26-09) und dem Addendum (A26-76), sofern nicht anders indiziert.

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
Objektive Ansprechrates (ORR, ergänzend dargestellt)^b		
	13	2 (15,4)
Progressionsfreies Überleben (PFS, ergänzend dargestellt)^c		
	13	5 (38,5)

Endpunkt	Selumetinib		
	N	Anzahl Patientinnen und Patienten zu Studienbeginn n (%)	Anzahl Patientinnen und Patienten zu Zyklus 25 n (%)
Schmerz (GIS-pNF, elternberichtet, ergänzend dargestellt)^d			
Keine Schmerzen	13	9 (69,2)	13 (100)
Mild	13	2 (15,4)	0 (0)
Moderat	13	2 (15,4)	0 (0)
Schwer	13	0 (0)	0 (0)

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Endpunkt	Selumetinib		
	N	Werte zu Studienbeginn MW (SD)	Änderung zu Zyklus 25 LS MW (SE) ^e
PedsQL (elternberichtet, ergänzend dargestellt)^f			
Gesamtscore	13	82,64 (14,71)	5,19 (3,48)

Nebenwirkungen

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
Unerwünschte Ereignisse gesamt (ergänzend dargestellt)		
	13	13 (100)
Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)		
	13	3 (23,1)
Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad ≥ 3)		
	13	6 (46,2)
Therapieabbrüche aufgrund von unerwünschten Ereignissen		
	13	0 (0)
SUE mit Inzidenz ≥ 10 %		

Endpunkt	Selumetinib	
	N	Patientinnen und Patienten mit Ereignis n (%)
SOC PT		
Infektionen und parasitäre Erkrankungen	13	3 (23,1)
UE CTCAE-Grad 3 oder höher mit Inzidenz $\geq 10\%$ SOC PT		
Infektionen und parasitäre Erkrankungen	13	2 (15,4)
^a Beurteilung durch Independent Central Review anhand der REiNS-Kriterien; die Zielläsion war definiert als das klinisch relevanteste, für eine volumetrische MRT-Analyse geeignete plexiforme Neurofibrom. Die beste erreichte Änderung ist die maximale Volumenreduktion im Vergleich zu Studienbeginn oder die minimale Volumenerhöhung, falls keine Volumenreduktion stattfand. ^b Partielles oder vollständiges Ansprechen bestätigt durch Independent Central Review anhand der REiNS-Kriterien ^c Progression gemäß REiNS-Kriterien ^d Elternberichtete Skala zur Schwere der durch das plexiforme Neurofibrom bedingten Schmerzen in den letzten 7 Tagen (0: „keine“, 1: „mild“, 2: „moderat“, 3: „schwer“). ^e Analyse mittels eines gemischten Modells für Messwiederholungen (MMRM). ^f PedsQL Infant Scale (Alter 13 bis 24 Monate) und PedsQL Generic Core Scale (Alter 2 bis 4 Jahre), jeweils Akutversion mit Recall 7 Tage; höhere (zunehmende) Werte bedeuten eine bessere gesundheitsbezogene Lebensqualität (Skalenspannweite 0 bis 100). Verwendete Abkürzungen: CTCAE = Common Terminology Criteria for Adverse Events; GIS-pNF = Global Impression of Severity for Plexiform Neurofibroma-related Pain; ICR = Independent Centralized Review; KI = Konfidenzintervall; LS = Least Squares; MW = Mittelwert; N = Anzahl ausgewerteter Patientinnen und Patienten; n = Anzahl Patientinnen und Patienten mit (mindestens einem) Ereignis; PedsQL = Pediatric Quality of Life Inventory; PN = plexiformes Neurofibrom; PROMIS = Patient-Reported Outcomes Measurement Information System; PT = Preferred Term; REiNS = Response Evaluation in Neurofibromatosis and Schwannomatosis; SD = Standardabweichung; SE = Standardfehler; SOC = Systemorganklasse; SUE = Schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis; UE = Unerwünschtes Ereignis		

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

Kinder zwischen 1 Jahr und unter 3 Jahren mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

circa 55 – 95 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 Koselugo (Wirkstoff: Selumetinib) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 24. Juni 2026):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Selumetinib soll durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit NF1-bedingten Tumoren erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie oder Fachärztinnen und Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie oder pädiatrische Hämatologie und Onkologie erfolgen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die EMA wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

4. Therapiekosten

Jahrestherapiekosten:

Kinder zwischen 1 Jahr und unter 3 Jahren mit symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen (PN) bei Neurofibromatose Typ 1 (NF1)

Bezeichnung der Therapie	Jahrestherapiekosten/ Patientin bzw. Patient
Zu bewertendes Arzneimittel:	
Selumetinib	81 237,57 € – 97 443,08 € ²
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich
Zweckmäßige Vergleichstherapie:	
Best-Supportive-Care	patientenindividuell unterschiedlich

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

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen: entfällt

² Die Spanne der Jahrestherapiekosten wird gebildet aus der Untergrenze für die 1- bis unter 2-jährigen Kinder und der Obergrenze für die 2- bis unter 3-jährigen Kinder.

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