

Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Feststellung
im Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung
und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften
Buches Sozialgesetzbuch (SGB V):

Exagamglogen autotemcel (Sichelzellkrankheit) – Vorlage von
Studienprotokoll und Statistischem Analyseplan

Vom 3. September 2026

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 3. September 2026 im
Verfahren der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach
§ 35a Absatz 3b SGB V zum Wirkstoff Exagamglogen autotemcel (Sichelzellkrankheit)
folgendes beschlossen:

- I. Es wird festgestellt, dass die Anforderungen an die anwendungsbegleitende
Datenerhebung und die Auswertungen in dem vom pharmazeutischen Unternehmer
erstellten und dem G-BA zur Überprüfung übermittelten Studienprotokoll (SP) und
statistischen Analyseplan (SAP) unzureichend umgesetzt sind, sodass die
anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden wird.

Folgende im Feststellungsbeschluss vom 18. September 2025 als zwingend erforderliche
Anpassungen an den Studienunterlagen wurden durch den pharmazeutischen
Unternehmer in den am 21. Mai 2026 vorgelegten überarbeiteten Studienunterlagen
(SP und SAP, Version 3.0) nicht umgesetzt:

a) Fragestellung gemäß PICO: Patientenpopulation

In den Studienunterlagen Version 3.0 sind weiterhin keine eindeutigen Kriterien, die
zur Beurteilung der Eignung beziehungsweise Nicht-Eignung einer Behandlung mit
Exagamglogen autotemcel bzw. einer Stammzelltransplantation herangezogen
werden sollen, definiert (siehe Abschnitt a im Feststellungsbeschluss vom
18. September 2025).

b) Studiendesign: Baselineerhebung

In den Studienunterlagen wurden keine Angaben ergänzt, die klarstellen, wie für die
Patientinnen und Patienten im Vergleichsarm zum Indexdatum die Prüfung der
weiterhin bestehenden Eignung für eine Therapie mit Exagamglogen autotemcel

umgesetzt wird (siehe Abschnitt n im Feststellungsbeschluss vom 18. September 2025).

c) Studiendesign: Confounder

In den Studienunterlagen wurde für die Confounder mit Ausnahme der Merkmale Alter, HbF-Anteil, Geschlecht und Anzahl an vasookklusiven Krisen als Operationalisierung lediglich die Angabe „ja/nein“ ergänzt. Somit fehlt für einen Großteil der Confounder in den Studienunterlagen weiterhin eine eindeutige und geeignete Definition, um eine einheitliche Erfassung der Confounder zu ermöglichen (siehe Abschnitt q im Feststellungsbeschluss vom 18. September 2025).

d) Studiendesign: Baselineerhebung der Confounder

In den Studienunterlagen ist weiterhin weder eine erneute Erhebung der Confounder zum Indexdatum vorgesehen noch ist eine Dokumentation des zeitlichen Abstandes zwischen Baselineerhebung und Indexdatum geplant. Der pharmazeutische Unternehmer legt zudem keine nachvollziehbare inhaltliche Begründung dahingehend vor, dass die Confounder innerhalb der 2-Jahres-Baselineperiode stabil bleiben (siehe Abschnitt n im Feststellungsbeschluss vom 18. September 2025).

- II. Die unter I. aufgeführten weiterhin bestehenden Mängel in den Studienunterlagen betreffen zwingend erforderliche Anpassungen, die für den Start der anwendungsbegleitenden Datenerhebung als unerlässlich erachtet werden. Da diese Mängel durch den pharmazeutischen Unternehmer nicht behoben wurden, wird die anwendungsbegleitende Datenerhebung nicht durchgeführt werden.
- III. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am 3. September 2026 in Kraft.

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

Berlin, den 3. September 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk