

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches
Sozialgesetzbuch (SGB V):
Lifileucel (Melanom)

Vom 5. Juni 2025

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung	2
3.	Bürokratiekostenermittlung	4
4.	Verfahrensablauf	4

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 3b Satz 9 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb angemessener Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

1. bei Arzneimitteln, deren Inverkehrbringen nach dem Verfahren des Artikels 14 Absatz 8 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1), die zuletzt durch die Verordnung (EU) 2019/5 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für die nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde, sowie
2. bei Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung Nr. 141/2000 zugelassen sind.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Mit dem vorliegenden Beschluss leitet der G-BA ein Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V zu dem Wirkstoff Lifileucel (Amtagvi) ein.

Das Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen gliedert sich nach 5. Kapitel § 51 Nummer 1 der Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA in

- a) die Beurteilung der Erforderlichkeit nach § 54,
- b) den verfahrenseinleitenden Beschluss nach § 55,
- c) die Vorbereitung eines Konzepts für die Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen nach § 56 unter Beteiligung sachverständiger Stellen nach § 57,
- d) die Auswertung der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 57 Absatz 5,
- e) den Beschluss des Plenums über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 58 vom pharmazeutischen Unternehmer

Die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen setzt nach 5. Kapitel § 54 Absatz 1 Satz 1 der VerfO voraus, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung zum Zweck der Nutzenbewertung eines Arzneimittels als erforderlich angesehen wird. Die Beurteilung der Erforderlichkeit erfolgt auf der Grundlage von Informationen zu diesem Arzneimittel, in der Regel insbesondere aus dem Zulassungsverfahren bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA), einer Recherche in Studienregistern nach laufenden oder abgeschlossenen Studien zu der betreffenden Indikation, einem Nutzenbewertungsverfahren des Gemeinsamen Bundesausschusses nach § 35a SGB V sowie weiteren Informationen zu klinischen Studien. Des Weiteren kann das IQWiG zur Vorbereitung der Entscheidung über die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung mit der Durchführung einer

systematischen Recherche nach Indikationsregistern sowie mit der Einschätzung der Patientenzahlen im zu beratenden Anwendungsgebiet beauftragt werden.

Das zentrale Zulassungsverfahren der EMA für den Wirkstoff Lifileucel ist im August 2024 gestartet. Der G-BA geht ausgehend von der Klassifizierung des Arzneimittels als ATMP und vor dem Hintergrund der derzeitigen Studienlage (pivotal einarmige Phase-II-Studie C-144-01) davon aus, dass eine bedingte Genehmigung für das Inverkehrbringen (Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nummer 726/2004) von der europäischen Kommission (EC) für Lifileucel ein mögliches Ergebnis des Zulassungsverfahrens darstellen kann.

Im Rahmen der Beurteilung der Erforderlichkeit wurde eine Studienrecherche in öffentlich zugänglichen Studienregistern zum Wirkstoff Lifileucel für das für die Zulassung beantragte Indikationsgebiet „nicht-resezierbares oder metastasiertes Melanom“ durchgeführt.

In die offene, einarmige Phase-II-Studie C-144-01 (NCT02360579) wurden Patientinnen und Patienten ab 18 Jahren mit nicht-resezierbarem oder metastasiertem Melanom eingeschlossen, die nach einer systemischen Therapie, einschließlich eines PD-1-blockierenden Antikörper, eine Progression aufweisen und, falls eine BRAF-V600-Mutation vorliegt, mit einem BRAF-Inhibitor mit oder ohne MEK-Inhibitor behandelt wurden.¹ Die Studie C-144-01 liegt dem Zulassungsantrag bei der EMA zugrunde.² Aus dieser Studie sind keine vergleichenden Daten gegenüber dem aktuellen Therapiestandard zu erwarten.

Die offene, randomisierte Phase-III-Studie IOV-MEL-301 (NCT05727904) untersucht eine Kombinationstherapie aus Lifileucel und Pembrolizumab gegenüber Pembrolizumab.³ Es werden Patientinnen und Patienten mit nicht-resezierbarem oder metastasiertem, unbehandeltem Melanom eingeschlossen. Aus dieser Studie ist keine weitergehende Evidenz zu einer Monotherapie mit Lifileucel zu erwarten.

Im Rahmen der Studienrecherche wurde eine weitere offene, randomisierte Phase-III-Studie (IMA203-301, NCT06743126) identifiziert.⁴ In dieser Studie wird der Wirkstoff SUPRAME-ACTengine® IMA203 gegenüber einer Therapie nach Wahl des Arztes/der Ärztin, einschließlich Lifileucel, untersucht. Es werden erwachsene Patientinnen und Patienten mit nicht-resezierbarem oder metastasiertem Melanom mit Progress nach mindestens einer PD-1-Inhibitor-Therapie und, bei Vorliegen einer BRAF-Mutation, mit einer BRAF-gerichteten Therapie mit oder ohne MEK-Inhibitor, eingeschlossen. Aus dieser Studie sind keine direkt vergleichenden Daten gegenüber dem aktuellen Therapiestandard zu erwarten.

Die im Rahmen der Studienrecherche durch den G-BA identifizierten Studien laufen vornehmlich in einer Population, die 18 Jahre und älter ist und einen Krankheitsprogress nach Therapie mit einem PD-1-Inhibitor und, falls eine BRAF-V600-Mutation vorliegt, mit einem BRAF-Inhibitor mit oder ohne MEK-Inhibitor, aufweisen.

Daher werden Erwachsene mit nicht-resezierbarem oder metastasiertem Melanom, die zuvor mit einem PD-1-blockierenden Antikörper und, falls eine BRAF-V600-Mutation vorliegt, mit einem BRAF-Inhibitor mit oder ohne MEK-Inhibitor behandelt wurden, als relevante Patientenpopulation für die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung für den Wirkstoff Lifileucel festgelegt.

Darüber hinaus wurden im Rahmen der Studienrecherche ausschließlich einarmige Studien identifiziert. Auf Basis dieser Datenlage ist davon auszugehen, dass zum jetzigen Zeitpunkt

¹ <https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT02360579?tab=table#recruitment-information>

² <https://thedermdigest.com/iovance-biotherapeutics-submits-eu-marketing-application-for-lifileucel-in-advanced-melanoma/>

³ <https://www.clinicaltrials.gov/study/NCT05727904>

⁴ <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06743126>

keine vergleichenden Daten für eine Behandlung mit Lifileucel gegenüber bestehenden Therapiealternativen für die vom G-BA konkretisierte Patientenpopulation vorliegen und dass unter Berücksichtigung der derzeitigen Studienplanungen keine Verbesserung der Evidenzlage erwartet werden kann. Daher hält der G-BA es für erforderlich, durch die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung zu prüfen, inwieweit die Evidenzgrundlage für die Bewertung des Zusatznutzens des vorliegenden Arzneimittels durch die Erhebung von Daten aus der Versorgung verbessert werden kann.

Der G-BA kann selbst ein Konzept für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung erstellen oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Erstellung eines Konzepts für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung beauftragen. Die Vorbereitung eines Konzepts soll grundsätzlich einen Zeitraum von 6 Monaten nicht überschreiten. Im vorliegenden Fall wird das IQWiG mit der Erstellung des Konzepts beauftragt.

3. Bürokratiekostenermittlung

Durch den vorgesehenen Beschluss entstehen keine neuen beziehungsweise geänderten Informationspflichten für Leistungserbringer im Sinne von Anlage II zum 1. Kapitel VerfO und dementsprechend keine Bürokratiekosten.

4. Verfahrensablauf

Zur Vorbereitung einer Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD)) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil.

Die Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 27. Mai 2025 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 5. Juni 2025 die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	3. April 2025 2. Mai 2025	Beratung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen
Unterausschuss Arzneimittel	27. Mai 2025	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	5. Juni 2025	Beschlussfassung

Berlin, den 5. Juni 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken