

Tragende Gründe

zum 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)

**Erdafitinib (Urothelkarzinom, FGFR3-Veränderungen,
vorbehandelt mit PD-(L)1-Inhibitor)**

Vom 18. Juni 2025

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung.....	2
2.1	Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie.....	3
2.1.1	Zugelassenes Anwendungsgebiet von Erdafitinib (Balversa) gemäß Fachinformation	3
2.1.2	Zweckmäßige Vergleichstherapie	3
2.1.3	Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens	8
2.1.4	Kurzfassung der Bewertung	11
2.2	Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	13
2.3	Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	13
2.4	Therapiekosten	14
2.5	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.....	19
2.6	Anteil der Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V	23
3.	Bürokratiekostenermittlung	24
4.	Verfahrensablauf	24

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen aller erstattungsfähigen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. Die Nutzenbewertung erfolgt aufgrund von Nachweisen des pharmazeutischen Unternehmers, die er einschließlich aller von ihm durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen spätestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens als auch der Zulassung neuer Anwendungsgebiete des Arzneimittels an den G-BA elektronisch zu übermitteln hat, und die insbesondere die folgenden Angaben enthalten müssen:

1. zugelassene Anwendungsgebiete,
2. medizinischer Nutzen,
3. medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie,
4. Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht,
5. Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung,
6. Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung.
7. Anzahl der Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, und Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer.

Der G-BA kann das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung beauftragen. Die Bewertung ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der G-BA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Maßgeblicher Zeitpunkt für den Beginn des Nutzenbewertungsverfahrens ist gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Erdafitinib am 1. Januar 2025 gewesen. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 VerfO am 20. Dezember 2024 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit der Bewertung des Dossiers beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 1. April 2025 auf den Internetseiten des G-BA (www.g-ba.de) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus eine mündliche Anhörung durchgeführt.

Der G-BA hat seine Entscheidung zu der Frage, ob ein Zusatznutzen von Erdafitinib gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie festgestellt werden kann, auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom IQWiG erstellten Dossierbewertung und der hierzu im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragene(n) Stellungnahmen getroffen. Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der G-BA die Daten, die die Feststellung eines Zusatznutzens rechtfertigen, nach Maßgabe der in 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Verfo festgelegten Kriterien im Hinblick auf ihre therapeutische Relevanz (qualitativ) bewertet. Auf die vom IQWiG vorgeschlagene Methodik gemäß den Allgemeinen Methoden¹ wurde in der Nutzenbewertung von Erdafitinib nicht abgestellt.

Ausgehend hiervon ist der G-BA, unter Berücksichtigung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung, zu folgender Bewertung gelangt:

2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Erdafitinib (Balversa) gemäß Fachinformation

Balversa als Monotherapie ist indiziert zur Behandlung erwachsener Patienten mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom (urothelial carcinoma, UC) und bestimmten genetischen Veränderungen des Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-3 (fibroblast growth factor receptor 3, FGFR3), die zuvor mindestens eine Therapielinie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbarem oder metastasierten Stadium erhalten haben.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 18.06.2025):

„siehe zugelassenes Anwendungsgebiet“

2.1.2 Zweckmäßige Vergleichstherapie

Die zweckmäßige Vergleichstherapie wurde wie folgt bestimmt:

- a1) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben; Zweitlinienbehandlung

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Erdafitinib als Monotherapie:

- Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin

¹ Allgemeine Methoden, Version 7.0 vom 19.09.2023. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln.

a2) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie nicht geeignet sind; Zweitlinienbehandlung

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Erdafitinib als Monotherapie:

– Vinflunin

oder

– Docetaxel

oder

– Paclitaxel

b) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit Platin-haltiger Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Chemotherapie geeignet sind; Drittlinienbehandlung

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Erdafitinib als Monotherapie:

– Enfortumab Vedotin

Kriterien nach 5. Kapitel § 6 der Verfahrensordnung des G-BA und § 6 Absatz 2 AM-NutzenV:

Die zweckmäßige Vergleichstherapie muss eine nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zweckmäßige Therapie im Anwendungsgebiet sein (§ 12 SGB V), vorzugsweise eine Therapie, für die Endpunktstudien vorliegen und die sich in der praktischen Anwendung bewährt hat, soweit nicht Richtlinien nach § 92 Absatz 1 SGB V oder das Wirtschaftlichkeitsgebot dagegensprechen.

Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie sind nach 5. Kapitel § 6 Absatz 3 Verfo insbesondere folgende Kriterien zu berücksichtigen:

1. Sofern als Vergleichstherapie eine Arzneimittelanwendung in Betracht kommt, muss das Arzneimittel grundsätzlich eine Zulassung für das Anwendungsgebiet haben.
2. Sofern als Vergleichstherapie eine nicht-medikamentöse Behandlung in Betracht kommt, muss diese im Rahmen der GKV erbringbar sein.
3. Als Vergleichstherapie sollen bevorzugt Arzneimittelanwendungen oder nicht-medikamentöse Behandlungen herangezogen werden, deren patientenrelevanter Nutzen durch den Gemeinsamen Bundesausschuss bereits festgestellt ist.
4. Die Vergleichstherapie soll nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zur zweckmäßigen Therapie im Anwendungsgebiet gehören.

Gemäß § 6 Absatz 2 Satz 2 AM-NutzenV ist bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie auf die tatsächliche Versorgungssituation, wie sie sich ohne das zu bewertende Arzneimittel darstellen würde, abzustellen. Gemäß § 6 Absatz 2 Satz 3 AM-NutzenV kann der G-BA als zweckmäßige Vergleichstherapie oder als Teil der zweckmäßigen Vergleichstherapie ausnahmsweise die zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln bestimmen, wenn er im Beschluss über die Nutzenbewertung nach § 7 Absatz 4 feststellt, dass diese nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse im zu bewertenden Anwendungsgebiet als Therapiestandard oder als Teil des Therapiestandards in der Versorgungssituation, auf die nach Satz 2 abzustellen ist, gilt und

1. erstmals mit dem zu bewertenden Arzneimittel ein im Anwendungsgebiet zugelassenes Arzneimittel zur Verfügung steht,
2. die zulassungsüberschreitende Anwendung nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse den im Anwendungsgebiet bislang zugelassenen Arzneimitteln regelhaft vorzuziehen ist oder
3. die zulassungsüberschreitende Anwendung nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse für relevante Patientengruppen oder Indikationsbereiche den im Anwendungsgebiet bislang zugelassenen Arzneimitteln regelhaft vorzuziehen ist.

Eine zweckmäßige Vergleichstherapie kann auch eine nichtmedikamentöse Therapie, die bestmögliche unterstützende Therapie einschließlich einer symptomatischen oder palliativen Behandlung oder das beobachtende Abwarten sein.

Begründung auf Basis der Kriterien nach 5. Kapitel § 6 Absatz 3 VerfO und § 6 Absatz 2 AM-NutzenV:

zu 1. Im vorliegenden Anwendungsgebiet sind neben Erdafitinib die Wirkstoffe Cisplatin, Doxorubicin, Gemcitabin, Methotrexat, Vinflunin, Atezolizumab, Nivolumab Pembrolizumab sowie Enfortumab Vedotin zugelassen.

Neben Erdafitinib sind bislang keine Arzneimitteltherapien spezifisch zur Behandlung eines Urothelkarzinoms mit genetischen Veränderungen des Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptors 3 (FGFR3) zugelassen.

zu 2. Eine nicht-medikamentöse Behandlung kommt im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht in Betracht.

zu 3. Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V:

- Enfortumab Vedotin: Beschluss vom 1. Dezember 2022
- Pembrolizumab: Beschluss vom 16. März 2018, in der Fassung der Änderungsbeschlüsse vom 2. August 2018, 20. Juni 2019 und 5. März 2020
- Atezolizumab: Beschluss vom 16. März 2018, in der Fassung der Änderungsbeschlüsse vom 2. August 2018 und 20. Juni 2019
- Nivolumab: Beschluss vom 21. Dezember 2017

zu 4. Der allgemein anerkannte Stand der medizinischen Erkenntnisse wurde durch eine systematische Recherche nach Leitlinien sowie systematischen Übersichtsarbeiten zu klinischen Studien in der vorliegenden Indikation abgebildet und ist in der „Recherche und Synopse der Evidenz zur Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie nach § 35a SGB V“ dargestellt.

Unter den unter Ziffer 1.) aufgeführten, zugelassenen Wirkstoffen werden unter Berücksichtigung der Evidenz zum therapeutischen Nutzen, der Leitlinienempfehlungen und der Versorgungsrealität nur bestimmte, nachfolgend benannte Wirkstoffe in die zweckmäßige Vergleichstherapie aufgenommen.

Zu Fragen der Vergleichstherapie in der vorliegenden Indikation wurden zudem, gemäß § 35a Absatz 7 SGB V, die wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften und die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ) schriftlich beteiligt. Es sind keine schriftlichen Äußerungen eingegangen.

Aus der vorliegenden Evidenz^{2,3,4} lassen sich keine Hinweise ableiten, dass bei Urothelkarzinomen mit genetischen Veränderungen des FGFR3 nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor bestimmte Faktoren vorliegen, die eindeutig gegen eine Behandlung mit den bisherigen bzw. aktuellen Standardtherapien sprechen. Der Abschnitt „Palliative Systemtherapie“ der gültigen S3-Leitlinie befindet sich aktuell in Überarbeitung.² Somit werden für die zweckmäßige Vergleichstherapie jene Therapieoptionen in Betracht gezogen, die unabhängig vom FGFR3-Mutationsstatus und somit für die diesbezüglich unselektierte Patientenpopulation infrage kommen.

Für Patientinnen und Patienten nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor in der Erstlinienbehandlung und die für eine Platin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben wird eine Platin-basierte Chemotherapie empfohlen.²

In Hinblick auf die Platin-basierte Chemotherapie wird gemäß den Leitlinien für Patientinnen und Patienten, welche für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind, eine Therapie mit Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin genannt.^{2,3}

Für Patientinnen und Patienten, die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie nicht geeignet sind, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor, werden die Wirkstoffe Vinflunin, Docetaxel und Paclitaxel empfohlen.^{2,3,4} Der Wirkstoff Vinflunin ist zugelassen nach Versagen einer Platin-haltigen Behandlung. Die Wirkstoffe Paclitaxel und Docetaxel sind im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht zugelassen.

Nach vorheriger Therapie mit einer Platin-haltigen Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor geht aus den Leitlinien^{2,3,4} der Einsatz von Enfortumab Vedotin hervor. Zudem kommt gemäß Leitlinie der European Association of Urology (EAU) für Patientinnen und Patienten in dieser Therapiesituation Vinflunin, Paclitaxel sowie Docetaxel in Betracht.

In der Nutzenbewertung von Enfortumab Vedotin für Patientinnen und Patienten, die zuvor eine Platin-haltige Chemotherapie und PD-1- oder PD-L1-Inhibitor erhalten haben und die für eine Chemotherapie geeignet sind, wurde ein Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen gegenüber einer Chemotherapie nach ärztlicher Maßgabe festgestellt. Für Patientinnen und Patienten, die für eine Chemotherapie nicht geeignet sind, ist ein Zusatznutzen nicht belegt.

² Alberta Health Services (AHS). Locally advanced/metastatic bladder cancer (T4bNxM0, TxN2-3M0, TxNxM1). Edmonton (CAN): AHS; 2023. (Clinical Practice Guideline; Band GU-014 Version 3).

³ Rouprêt M, Gontero P, Birtle A, Compérat E, Dominguez Escrig JL, Liedberg F, et al. EAU guidelines on upper urinary tract urothelial carcinoma. Arnhem (NED): European Association of Urology (EAU); 2023.

⁴ Witjes JA, Bruins HM, Carrion A, Cathomas R, Comperat E, Efstathiou JA, et al. EAU guidelines on muscle-invasive and metastatic bladder cancer. Arnhem (NED): European Association of Urology (EAU); 2023.

Für Patientinnen und Patienten, die bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweisen, wird in der Therapiesituation nach vorheriger Therapie mit einer Platinhaltigen Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor zudem, neben den oben genannten Chemotherapien, auch Erdafitinib empfohlen^{3,4}. Erdafitinib scheidet jedoch als eine zweckmäßige Vergleichstherapie hinsichtlich der Fragestellung der vorliegenden Nutzenbewertung aus.

In der gemeinsamen Stellungnahme der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) und der Deutsche Gesellschaft Urologie (DGU) zur vorliegenden Nutzenbewertung wurde darauf hingewiesen, dass sich die Entscheidungsfindung hinsichtlich der Erstlinientherapie des Urothelkarzinoms und damit auch für die Folgetherapien erheblich verändert haben. Höchste Priorität für die Erstlinientherapie erhalte die Kombinationstherapie mit Enfortumab Vedotin und Pembrolizumab. Die Wahl der medikamentösen Zweit- und Drittlinientherapie beim metastasierten Urothelkarzinom werde vor allem durch den Allgemeinzustand, die vorherige Therapie und durch Komorbidität bestimmt.^{5,6} Bezüglich der Zweitlinientherapie nach einer Vortherapie mit Enfortumab Vedotin in Kombination mit Pembrolizumab existiert bislang kein durch die Fachgesellschaften anerkannter Therapiestandard. Aus Sicht der Fachgesellschaften sind bei dem Patientenkollektiv nach Vortherapie mit einem Immuncheckpoint-Inhibitor vor allem Art und Umfang weiterer Vortherapien relevant.

Das zu bewertende Anwendungsgebiet von Erdafitinib umfasst Patientinnen und Patienten, die zuvor mindestens eine Therapielinie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbarem oder metastasierten Stadium erhalten haben. In Anbetracht der vorliegenden Evidenz und den unterschiedlichen Therapieempfehlungen in den verschiedenen Therapiesituationen nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor erachtet der G-BA es als sachgerecht, Patientenpopulationen nach Art der Vortherapie und Cisplatin-Eignung zu differenzieren.

In der Gesamtbetrachtung bestimmt der G-BA für Patientinnen und Patienten nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor, und die für eine Cisplatinhaltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben (Zweitlinienbehandlung; Patientenpopulation a1) Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin als zweckmäßige Vergleichstherapie.

Für Patientinnen und Patienten nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor und die für eine Cisplatinhaltige Chemotherapie nicht geeignet sind (Zweitlinienbehandlung; Patientenpopulation a2), werden die Wirkstoffe Vinflunin, Docetaxel und Paclitaxel empfohlen.^{2,3,4} Der Wirkstoff Vinflunin ist zugelassen nach Versagen einer Platinhaltigen Behandlung. Die Wirkstoffe Paclitaxel und Docetaxel sind im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht zugelassen. Dementsprechend stellt der Einsatz von Vinflunin, Paclitaxel und Docetaxel für die Patientengruppe a2) eine zulassungsüberschreitende Anwendung dar. Für die Patientengruppe a2) im benannten Anwendungsgebiet ist die zulassungsüberschreitende Anwendung nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse den im Anwendungsgebiet bislang zugelassenen Arzneimitteln regelhaft vorzuziehen, § 6 Absatz 2 Satz 3 Nummer 3 AM-

⁵ Leitlinienprogramm Onkologie (Deutsche Krebsgesellschaft, Deutsche Krebshilfe, AWMF): S3-Leitlinie Früherkennung, Diagnose, Therapie und Nachsorge des Harnblasenkarzinoms, Langversion 31. März 2025

⁶ De Wit M et al., Blasenkarzinom (Urothelkarzinom), November 2024.

<https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/blasenkarzinom-urothelkarzinom/@@guideline/html/index.html>

NutzenV. Daher ist es sachgerecht, die voranstehend genannten Arzneimittel in der zulassungsüberschreitenden Anwendung für diese Patientengruppe als zweckmäßige Vergleichstherapie zu bestimmen.

Für Patientinnen und Patienten nach vorheriger Therapie mit Platin-haltiger Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor, und die für eine Chemotherapie geeignet sind (Drittlinienbehandlung; Patientenpopulation b), wird Enfortumab Vedotin als zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt.

Die hierzu in der Anlage XII getroffenen Feststellungen schränken den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum nicht ein.

Eine Änderung der zweckmäßigen Vergleichstherapie bedarf einer an die vorherige Prüfung der Kriterien nach 5. Kapitel § 6 Absatz 3 VerfO geknüpften Entscheidung des G-BA.

2.1.3 Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Erdafitinib wie folgt bewertet:

- a) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben; Zweitlinienbehandlung

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

- a2) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie *nicht* geeignet sind; Zweitlinienbehandlung

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

- b) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit Platin-haltiger Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Chemotherapie geeignet sind; Drittlinienbehandlung

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Begründung:

Im Dossier für die Nutzenbewertung wurden vom pharmazeutischen Unternehmer die Ergebnisse der Studie THOR vorgelegt. Es handelt es sich um eine offene, randomisierte, multizentrische Phase-III-Studie, in der Erdafitinib mit einer Chemotherapie (Vinflunin oder Docetaxel) (Kohorte 1) bzw. Pembrolizumab (Kohorte 2) verglichen wird.

Maßgeblich für die Nutzenbewertung ist die Kohorte 1. In der Kohorte 1 wurden erwachsene Patientinnen und Patienten mit fortgeschrittenem, metastasiertem oder inoperablem Urothelkarzinom und bestimmten FGFR-Veränderungen untersucht. Die Patientinnen und Patienten mussten eine Krankheitsprogression nach 1 oder 2 vorherigen Therapien aufweisen, davon mindestens 1 vorherige Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor. Die Therapie mit dem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor konnte (neo)adjuvant oder im metastasierten Stadium erfolgt sein.

Insgesamt wurden 136 Patientinnen und Patienten der Behandlung mit Erdafitinib und 130 Patientinnen und Patienten der Behandlung mit einer Chemotherapie (Vinflunin oder Docetaxel) randomisiert zugeteilt.

Die Behandlung der Patientinnen und Patienten im Interventionsarm entsprach den Vorgaben der Fachinformation.

Der primäre Endpunkt der Studie THOR war das Gesamtüberleben. Sekundäre Endpunkte wurden in den Endpunktkategorien Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität und Nebenwirkungen erhoben.

Für die Nutzenbewertung liegen die Ergebnisse zum ersten Datenschnitt vom 15.01.2023 vor. Hierbei handelt es sich um die präspezifizierte Interimsanalyse nach 136 Todesfällen, die gleichzeitig die finale Analyse darstellt.

Bewertung:

a1) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben; Zweitlinienbehandlung

und

b) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben; Zweitlinienbehandlung

Die Daten der Studie THOR sind für die Bewertung des Zusatznutzens nicht geeignet. Im Vergleichsarm der Kohorte 1 wurden die Patientinnen und Patienten mit einer Chemotherapie (Vinflunin oder Docetaxel) behandelt. Dies entspricht nicht den zweckmäßigen Vergleichstherapien für die Patientengruppen a1 und b. Es liegen somit keine geeigneten Daten für eine Bewertung des Zusatznutzens von Erdafitinib vor.

a2) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie nicht geeignet sind; Zweitlinienbehandlung

Die im Vergleichsarm der Kohorte 1 eingesetzten Wirkstoffe Vinflunin und Docetaxel stellen – neben Paclitaxel – die zweckmäßige Vergleichstherapie für die Patientenpopulation dar. Jedoch bilden nicht alle Patientinnen und Patienten der Kohorte 1 die Patientenpopulation a2 ab.

Um eine für die Nutzenbewertung relevante Population zu bilden, legte der pharmazeutische Unternehmer im Dossier Daten für eine Teilpopulation vor, die er als Analysepopulation bezeichnet. Hierfür schließt der pharmazeutische Unternehmer 15 Patientinnen und Patienten im Interventionsarm und 79 im Vergleichsarm unter Anwendung der nachfolgenden Kriterien 1 bis 3 aus der Kohorte 1 aus:

- 1) Patientinnen und Patienten, die eine Vortherapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor nicht im inoperablen oder metastasierten (sondern im neoadjuvanten oder adjuvanten) Stadium erhalten hatten, da diese vom zugelassenen Anwendungsgebiet von Erdafitinib nicht umfasst sind
- 2) Patientinnen und Patienten, die zuvor keine platinbasierte Therapie erhalten haben und für die eine Therapie mit Cisplatin geeignet wäre
- 3) aus der Vergleichsgruppe: Patientinnen und Patienten mit vorheriger platinhaltiger Therapie, die in der Studie THOR Docetaxel erhalten haben. Der pharmazeutische Unternehmer begründet dies mit der im Gegensatz zu Vinflunin fehlenden Zulassung von Docetaxel nach vorheriger platinhaltiger Therapie.

Im Ergebnis werden von den 136 vs. 130 Patientinnen und Patienten (Erdafitinib vs. Chemotherapie) der Kohorte 1 in der Analyse 121 vs. 51 Patientinnen und Patienten betrachtet, womit von der Auswertung deutlich mehr Patientinnen und Patienten im Vergleichsarm als im Interventionsarm ausgeschlossen wurden.

Das Vorgehen zur Bildung der Analysepopulation wird als ist nicht sachgerecht bewertet, da durch die Anwendung des Kriteriums 3) nur in der Vergleichsgruppe Patientinnen und Patienten für die Bildung der Analysepopulation ausgeschlossen werden. Dadurch ist die Strukturgleichheit der zu vergleichenden Studienarme gebrochen.

Unabhängig davon umfasst die vorgelegte Analysepopulation dabei ähnlich wie die Gesamtpopulation der Kohorte 1 größtenteils Patientinnen und Patienten, für die im Vergleichsarm Enfortumab Vedotin die gemäß zweckmäßiger Vergleichstherapie angezeigte Therapieoption gewesen wäre, da sie neben einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor auch eine vorherige platinhaltige Chemotherapie erhalten haben. Basierend auf den Angaben im Dossier betrifft dies circa 88 % der Patientinnen und Patienten in der Kohorte 1. Die restlichen 12 % der Patientinnen und Patienten, 14 bzw. 19 Patientinnen und Patienten im Interventions- bzw. Vergleichsarm, bekamen keine vorherige platinbasierte Therapie. Für wie viele dieser 14 bzw. 19 Patientinnen und Patienten allerdings eine cisplatinhaltige Chemotherapie nicht geeignet war, ging aus den vorgelegten Unterlagen im Dossier nicht hervor. Zudem war für die 12 % der Patientinnen und Patienten unklar, wie hoch die Anzahl der Patientinnen und Patienten ist, die die vorherige Behandlung mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor nicht im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, sondern neo-adjuvant oder adjuvant erhielten und damit nicht von der Zulassung umfasst wären. Mit seiner Stellungnahme wurden vom pharmazeutischen Unternehmer diesbezüglich detailliertere Informationen zur Gesamtpopulation der Kohorte 1 vorgelegt. Daraus ergibt sich, dass insgesamt 249

Patientinnen und Patienten der Zulassungspopulation entsprechen. Von diesen kommen lediglich 19 Patientinnen und Patienten für die Patientenpopulation a2 infrage, da sie keine vorherige platinbasierte Therapie erhalten haben und für diese aber auch nicht infrage kommen.

Die zudem vom pharmazeutischen Unternehmer im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens vorgelegten Auswertungen zur Gesamtpopulation der Kohorte 1 (ITT-Analyse) lassen im Ergebnis dennoch keine Aussagen zur Patientenpopulation a2 zu, da ein wesentlicher Teil der Patientinnen und Patienten der Kohorte 1 nicht die Patientenpopulation a2 abbilden.

Es liegen somit keine geeigneten Daten für eine Bewertung des Zusatznutzens von Erdafitinib vor.

2.1.4 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung des neuen Arzneimittels Balversa mit dem Wirkstoff Erdafitinib.

Erdafitinib ist indiziert zur Behandlung erwachsener Patienten mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom (urothelial carcinoma, UC) und bestimmten genetischen Veränderungen des Fibroblasten-Wachstumsfaktor-Rezeptor-3 (fibroblast growth factor receptor 3, FGFR3), die zuvor mindestens eine Therapielinie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbarem oder metastasierten Stadium erhalten haben.

In dem zu betrachtenden Anwendungsgebiet wurden drei Patientengruppen unterschieden:

- a1) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben; Zweitlinienbehandlung
- a2) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie nicht geeignet sind; Zweitlinienbehandlung
- b) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit Platin-haltiger Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Chemotherapie geeignet sind; Drittlinienbehandlung

Der pharmazeutische Unternehmer legte Ergebnisse der Phase-III-Studie THOR vor. Für die Nutzenbewertung relevant ist die Kohorte 1, in der Erdafitinib mit einer Chemotherapie (Vinflunin, Docetaxel) verglichen wurde.

Patientengruppe a1)

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurden vom G-BA Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin bestimmt. Im Vergleichsarm der Kohorte 1 wurden die Patientinnen und Patienten mit Vinflunin oder Docetaxel behandelt. Dies entspricht nicht den zweckmäßigen Vergleichstherapien. Es liegen somit keine geeigneten Daten für eine Bewertung des Zusatznutzens von Erdafitinib vor. Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Patientengruppe a2)

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurde vom G-BA Vinflunin oder Docetaxel oder Paclitaxel bestimmt. Die im Vergleichsarm der Kohorte 1 eingesetzten Wirkstoffe Vinflunin und Docetaxel stellen die zweckmäßige Vergleichstherapie dar. Jedoch bilden nicht alle Patientinnen und Patienten der Kohorte 1 die Patientenpopulation a2 ab. Um eine für die Nutzenbewertung relevante Population zu bilden, legte der pharmazeutische Unternehmer Daten für eine Teilpopulation vor. Das Vorgehen zur Bildung der Teilpopulation wird vom G-BA als ist nicht sachgerecht bewertet, da die Strukturgleichheit der zu vergleichenden Studienarme gebrochen wurde. Unabhängig davon kann der genaue Anteil von Patientinnen und Patienten, die gemäß der zweckmäßigen Vergleichstherapie behandelt wurden, anhand der vorgelegten Daten nicht bestimmt werden.

Vom pharmazeutischen Unternehmer wurden im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens unter anderem Auswertungen zur Gesamtpopulation der Kohorte 1 vorgelegt. Diese lassen jedoch keine Aussagen zur Patientenpopulation a2 zu, da nicht alle Patientinnen und Patienten der Kohorte 1 die Patientenpopulation a2 abbilden. Es liegen somit keine geeigneten Daten für eine Bewertung des Zusatznutzens von Erdafitinib vor. Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Patientengruppe b)

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurde vom G-BA Enfortumab Vedotin bestimmt. Im Vergleichsarm der Kohorte 1 wurden die Patientinnen und Patienten mit Vinflunin oder Docetaxel behandelt. Dies entspricht nicht der zweckmäßigen Vergleichstherapie. Es liegen somit keine geeigneten Daten für eine Bewertung des Zusatznutzens von Erdafitinib vor. Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

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

Bei den Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten handelt es sich um die Zielpopulation in der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV).

Dem Beschluss werden die Angaben des pharmazeutischen Unternehmers zugrunde gelegt.

Diese Angaben sind mit Unsicherheiten behaftet, die sich unter anderem aus den folgenden Aspekten ergeben:

Die vom pharmazeutischen Unternehmer vorgenommene Berechnung des Anteils der Patientinnen und Patienten mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom über die Patientengruppe im Stadium IV bei Erstdiagnose zuzüglich derjenigen mit einem Progress nach Erstdiagnose im Stadium I bis III ist insgesamt mit Unsicherheit verbunden, da das für das Anwendungsgebiet relevante nicht resezierbare Urothelkarzinom bei Erstdiagnose auch ein früheres Stadium als IV nach UICC aufweisen könnte. Zudem wurden bei der Bestimmung der Stadienverteilung und Progressionsereignisse ausschließlich Auswertungen zum Harnblasenkarzinom verwendet.

Für die Berechnung des Anteilswertes der Patientinnen und Patienten mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom bei Erstdiagnose wurden ausschließlich Patientinnen und Patienten in die Grundgesamtheit der Anteilsbestimmung eingeschlossen, für die Angaben zum UICC-Stadium verfügbar sind. Der hohe Anteil an Patientinnen und Patienten ohne bekanntes UICC-Stadium führt zu Unsicherheit der Anteilswerte für Patientinnen und Patienten mit Stadium IV und den weiteren Stadien I bis III, die in der nachgelagerten Berechnung der Patientinnen und Patienten mit Progression herangezogen werden.

Zudem sind die für die Berechnung der Patientinnen und Patienten mit mindestens 1 Vortherapie mit PD-1- oder PD-L1-Inhibitor, differenziert nach Cisplatin-Eignung, zugrunde gelegten Anteilsspannen (Eignung für Cisplatin-basierte bzw. Platin-basierte Chemotherapien) mit Unsicherheit behaftet.

2.3 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 Balversa (Wirkstoff: Erdafitinib) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 7. Mai 2025):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Erdafitinib soll nur durch in der Therapie von Erwachsenen mit Urothelkarzinom erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie sowie für Urologie und weitere, an der Onkologie-Vereinbarung teilnehmende Ärztinnen und Ärzte anderer Fachgruppen erfolgen.

2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 1. Juni 2025).

Die dargestellten Jahrestherapiekosten beziehen sich auf das erste Behandlungsjahr.

Ist in der Fachinformation keine maximale Therapiedauer angegeben, wird als Behandlungsdauer rechnerisch ein Jahr (365 Tage) angenommen, auch wenn die tatsächliche Therapiedauer patientenindividuell unterschiedlich und/oder durchschnittlich kürzer ist. Für die Berechnung der „Anzahl Behandlungen/Patient/Jahr“, Zeitintervalle zwischen einzelnen Behandlungen und für die maximale Therapiedauer, sofern in der Fachinformation angegeben, wird die Zeiteinheit „Tage“ verwendet.

Für die Kostendarstellung werden nur die Dosierungen des Regelfalls betrachtet. Patientenindividuelle Dosisanpassungen, z.B. aufgrund von Nebenwirkungen oder Komorbiditäten, werden bei der rechnerischen Darstellung der Jahrestherapiekosten nicht berücksichtigt.

Bei Dosierungen in Abhängigkeit von Körpergewicht (KG) oder Körperoberfläche (KOF) wurden die durchschnittlichen Körpermaße der amtlichen Repräsentativstatistik „Mikrozensus 2021 – Körpermaße der Bevölkerung“ zugrunde gelegt (durchschnittliche Körpergröße: 1,72 m, durchschnittliches Körpergewicht: 77,7 kg).⁷ Hieraus ergibt sich eine Körperoberfläche von 1,91 m² (Berechnung nach Du Bois 1916).

Der Einsatz von Vinflunin, Paclitaxel und Docetaxel für die Patientengruppe a2) stellt eine zulassungsüberschreitende Anwendung dar. Für die Kostendarstellung wird auf die Dosierungsschemata in den Zulassungsstudien KEYNOTE-045 (Pembrolizumab)⁸ bzw. EV-301 (Enfortumab Vedotin)⁹ abgestellt.

Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Erdafitinib	kontinuierlich, 1 x täglich	365,0	1	365,0
Zweckmäßige Vergleichstherapie				
Patientenpopulation a1): Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin				
Cisplatin	1 x pro 28-Tage-Zyklus	13,0	1	13,0

⁷ Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (2021, beide Geschlechter, ab 15 Jahren), www.gbe-bund.de

⁸ Bellmunt J, de Wit R, Vaughn David J et al. Pembrolizumab as Second-Line Therapy for Advanced Urothelial Carcinoma. N Engl J Med 376(11): 1015-1026.

⁹ Powles T, Rosenberg JE, Sonpavde GP et al. Enfortumab Vedotin in Previously Treated Advanced Urothelial Carcinoma. N Engl J Med 2021; 384(12): 1125-1135.

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Gemcitabin	3 x pro 28-Tage-Zyklus	13,0	3	39,0
Patientenpopulation a2): Vinflunin oder Docetaxel oder Paclitaxel				
Vinflunin	1 x pro 21-Tage-Zyklus	17,4	1	17,4
Docetaxel	1 x pro 21-Tage-Zyklus	17,4	1	17,4
Paclitaxel	1 x pro 21-Tage-Zyklus	17,4	1	17,4
Patientenpopulation b): Enfortumab Vedotin				
Enfortumab Vedotin	2 x pro 21-Tage-Zyklus	17,4	2	34,8

Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Dosierung/ Anwendung	Dosis/ Patientin bzw. Patient/ Behandlungstage	Verbrauch nach Wirkstärke/ Behandlungstag	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr	Jahresdurchschnittsverbrauch nach Wirkstärke
Zu bewertendes Arzneimittel					
Erdafitinib	4 mg - 9 mg	8 mg - 9 mg	2 x 4 mg - 3 x 3 mg	365,0	730 x 4 mg - 1095 x 3 mg
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Patientenpopulation a1): Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin					
Cisplatin	70 mg/m ² KOF = 133,7 mg	133,7 mg	1 x 50 mg + 1 x 100 mg	13,0 13,0	13 x 50 mg + 13 x 100 mg
Gemcitabin	1 000 mg/m ² KOF = 1910 mg	1910 mg	2 x 1000 mg	39,0	78 x 1000 mg
Patientenpopulation a2): Vinflunin oder Docetaxel oder Paclitaxel					
Vinflunin	320 mg/m ² KOF = 611,20 mg	611,20 mg	2 x 250 mg +	17,4	34,8 x 250 mg +

Bezeichnung der Therapie	Dosierung/ Anwendung	Dosis/ Patientin bzw. Patient/ Behand- lungstage	Verbrauch nach Wirkstärke/ Behandlungs- tag	Behand- lungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr	Jahresdurchs- chnitts- verbrauch nach Wirkstärke
			3 x 50 mg		52,2 x 50 mg
Docetaxel	75 mg/m ² KOF = 143,25 mg	143,25 mg	1 x 160 mg	17,4	17,4 x 160 mg
Paclitaxel	175 mg/m ² KOF = 334,25 mg	334,25 mg	1 x 300 mg + 2 x 30 mg	17,4	17,4 x 300 mg + 34,8 x 30 mg
Patientenpopulation b): Enfortumab Vedotin					
Enfortumab Vedotin	1,25 mg/kg KG = 97,1 m	97,1 mg	2 x 30 mg + 2 x 20 mg	34,8 34,8	69,6 x 30 mg 69,6 x 20 mg

Kosten:

Die Arzneimittelkosten wurden zur besseren Vergleichbarkeit näherungsweise sowohl auf der Basis der Apothekenverkaufspreisebene als auch abzüglich der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte nach § 130 und § 130a SGB V erhoben. Für die Berechnung der Jahrestherapiekosten wurde zunächst anhand des Verbrauchs die benötigte Anzahl an Packungen nach Wirkstärke ermittelt. Mit der Anzahl an Packungen nach Wirkstärke wurden dann die Arzneimittelkosten auf Basis der Kosten pro Packung, nach Abzug der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte, berechnet. Sofern Festbeträge in der Kostendarstellung abgebildet wurden, stellen diese ggf. nicht die günstigste verfügbare Alternative dar.

Kosten der Arzneimittel:

Bezeichnung der Therapie	Packungs- größe	Kosten (Apotheken abgabe- preis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschrie- bener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel					
Erdaftinib 4 mg	56 FTA	13 201,11 €	1,77 €	750,63 €	12 448,71 €
Erdaftinib 3 mg	84 FTA	13 201,11 €	1,77 €	750,63 €	12 448,71 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Gemcitabin 1 000 mg	1 PIF	102,35 €	1,77 €	10,62 €	89,96 €
Cisplatin 50 mg	1 IFK	44,09 €	1,77 €	1,56 €	40,76 €
Cisplatin 100 mg	1 IFK	76,86 €	1,77 €	3,11 €	71,98 €
Paclitaxel 300 mg	1 IFK	845,77 €	1,77 €	39,60 €	804,40 €
Paclitaxel 30 mg	1 IFK	94,76 €	1,77 €	3,96 €	89,03 €

Bezeichnung der Therapie	Packungsgröße	Kosten (Apotheken abgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Docetaxel 160 mg	1 IFK	515,78 €	1,77 €	23,94 €	490,07 €
Vinflunin 250 mg	1 IFK	1 869,18 €	1,77 €	103,46 €	1 763,95 €
Vinflunin 50 mg	1 IFK	385,04 €	1,77 €	20,69 €	362,58 €
Enfortumab Vedotin 30 mg	1 PKI	833,35 €	1,77 €	45,51 €	786,07 €
Enfortumab Vedotin 20 mg	1 PKI	559,32 €	1,77 €	30,34 €	527,21 €

Abkürzungen: FTA = Filmtabletten; IFK = Infusionslösungskonzentrat; PIF = Pulver zur Herstellung einer Infusionslösung; PKI = Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung

Stand Lauer-Taxe: 1. Juni 2025

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen:

Es werden nur direkt mit der Anwendung des Arzneimittels unmittelbar in Zusammenhang stehende Kosten berücksichtigt. Sofern bei der Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie entsprechend der Fachinformation regelhaft Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen bestehen, sind die hierfür anfallenden Kosten als Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zu berücksichtigen.

Ärztliche Behandlungskosten, ärztliche Honorarleistungen, sowie für Routineuntersuchungen (z.B. regelhafte Laborleistungen wie Blutbilduntersuchungen) anfallende Kosten, die nicht über den Rahmen der üblichen Aufwendungen im Verlauf der Behandlung hinausgehen, werden nicht abgebildet.

Nichtverschreibungspflichtige Arzneimittel, die gemäß Anlage I der Arzneimittel-Richtlinie (sogenannte OTC-Ausnahmeliste) zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung erstattungsfähig sind, unterliegen nicht der aktuellen Arzneimittel-Preisverordnung. Stattdessen gilt für diese gemäß § 129 Absatz 5aSGB V bei Abgabe eines nicht verschreibungspflichtigen Arzneimittels bei Abrechnung nach § 300 ein für die Versicherten maßgeblicher Arzneimittelabgabepreis in Höhe des Abgabepreises des pharmazeutischen Unternehmens zuzüglich der Zuschläge nach den §§ 2 und 3 der Arzneimittelpreisverordnung in der am 31. Dezember 2003 gültigen Fassung.

Patientenpopulation a1)

Bezeichnung der Therapie	Packungsgröße	Kosten (Apotheken abgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte	Behandlungstage/Jahr	Kosten/Patient/Jahr
Zweckmäßige Vergleichstherapie							
Cisplatin in Kombination mit Gemcitabin							
Cisplatin							

Bezeichnung der Therapie	Packungsgröße	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte	Behandlungstage/Jahr	Kosten/Patient/Jahr
Antiemetische Behandlung: In der klinischen Praxis ist vor und/oder nach einer Cisplatin-Gabe eine angemessene antiemetische Behandlung etabliert. In der Fachinformation von Cisplatin werden hierzu keine konkretisierenden Angaben gemacht, weshalb die dafür notwendigen Kosten nicht zu beziffern sind.							
Hydrisierung und forcierte Diurese							
Mannitol 10 % Inf.-Lsg., 375 ml/Tag	10 x 500 ml INF	105,54 €	5,28 €	4,26 €	96,00 €	13	124,80 €
Natriumchlorid 0,9 % Inf.-Lsg., 3 - 4,4 l/Tag	20 x 500 ml INF	5,51 €	0,28 €	0,38 €	4,85 €	13	18,92 € – 26,80 €

Sonstige GKV-Leistungen:

Der Vertrag über die Preisbildung für Stoffe und Zubereitungen aus Stoffen (§§ 4 und 5 der Arzneimittelpreisverordnung) vom 01.10.2009, die so genannte „Hilfstaxe“, wird zur Berechnung der Kosten nicht vollumfänglich herangezogen. Hilfsweise ist der in den Verzeichnisdiensten nach § 131 Absatz 4 SGB V öffentlich zugängliche Apothekenverkaufspreis (AVP) eine für eine standardisierte Berechnung geeignete Grundlage.

Nach der Hilfstaxe in ihrer aktuell gültigen Fassung fallen Zuschläge für die Herstellung bei zytostatikahaltigen parenteralen Zubereitungen von maximal 100 € pro applikationsfertiger Zubereitung, für die Herstellung bei parenteralen Lösungen mit monoklonalen Antikörpern von maximal 100 € pro applikationsfertiger Einheit an. Diese zusätzlichen sonstigen Kosten fallen nicht additiv zur Höhe des Apothekenverkaufspreises an, sondern folgen den Regularien zur Berechnung in der Hilfstaxe. Die Kostendarstellung erfolgt aufgrund des AVP und des maximalen Zuschlages für die Herstellung und stellt nur eine näherungsweise Abbildung der Therapiekosten dar. In dieser Darstellung unberücksichtigt sind beispielsweise die Abschläge auf den Apothekeneinkaufspreis des Wirkstoffes, die Abrechnung der Verwürfe, die Berechnung der Applikationsgefäße und Trägerlösungen nach den Regularien der Anlage 3 der Hilfstaxe.

2.5 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

Gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 benennt der G-BA alle Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, die aufgrund der arzneimittelrechtlichen Zulassung in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel für das zu bewertende Anwendungsgebiet eingesetzt werden können.

Grundlagen auf Seiten des bewerteten Arzneimittels

Eine Benennung gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfordert, dass auf Basis der Fachinformation für das bewertete Arzneimittel geprüft wird, ob dieses in einer Kombinationstherapie mit anderen Arzneimitteln im bewerteten Anwendungsgebiet eingesetzt werden kann. Die Prüfung erfolgt im ersten Schritt auf Grundlage aller Abschnitte der aktuell gültigen Fachinformation für das bewertete Arzneimittel.

Sofern das bewertete Arzneimittel im Anwendungsgebiet des Beschlusses (bewertetes Anwendungsgebiet) einen Wirkstoff oder eine fixe Kombination von Wirkstoffen enthält und ausschließlich zum Einsatz in Monotherapie zugelassen ist, kommt eine Kombinationstherapie aufgrund der arzneimittelrechtlichen Zulassung nicht in Betracht, weshalb keine Benennung erfolgt.

Eine Benennung kommt ebenfalls nicht in Betracht, sofern der G-BA für das bewertete Arzneimittel gemäß § 35a Absatz 1c Satz 1 SGB V eine Freistellung als Reserveantibiotikum beschlossen hat. Hat der G-BA eine Freistellung für ein Reserveantibiotikum nach § 35a Absatz 1c Satz 1 SGB V beschlossen, gilt der Zusatznutzen als belegt; das Ausmaß des Zusatznutzens und seine therapeutische Bedeutung sind vom G-BA nicht zu bewerten. Aufgrund des fehlenden Bewertungsauftrags des G-BA nach Beschluss über eine Freistellung nach § 35a Absatz 1c Satz 1 SGB V im Hinblick auf das Ausmaß des Zusatznutzens und die therapeutische Bedeutung des zu bewertenden Reserveantibiotikums besteht durch die verfahrensrechtliche Privilegierung der pharmazeutischen Unternehmer eine Limitation dahingehend, dass für freigestellte Reserveantibiotika weder der Nachweis eines bestehenden noch eines erwartbaren mindestens beträchtlichen Zusatznutzens in den Verfahren nach § 35a Absatz 1 oder 6 SGB V bzw. § 35a Absatz 1d SGB V möglich ist. Die verfahrensrechtliche Privilegierung der nach § 35a Absatz 1c Satz 1 SGB V freigestellten Reserveantibiotika muss daher, um Wertungswidersprüche zu vermeiden, auch auf der Ebene der Benennung nach § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V berücksichtigt werden.

Hinsichtlich der weiteren Prüfschritte wird zwischen einer „bestimmten“ oder „unbestimmten“ Kombination differenziert, die gegebenenfalls auch die Grundlage für eine Benennung darstellt.

Dabei liegt eine „bestimmte Kombination“ vor, wenn konkret ein oder mehrere einzelne Wirkstoffe genannt werden, die in Kombination mit dem bewerteten Arzneimittel im bewerteten Anwendungsgebiet eingesetzt werden können.

Eine „unbestimmte Kombination“ liegt vor, wenn zwar Angaben zu einer Kombinationstherapie vorhanden sind, jedoch keine konkreten Wirkstoffe genannt werden. Eine unbestimmte Kombination kann vorliegen, wenn in den Angaben zu einer Kombinationstherapie

- eine Wirkstoffklasse oder -gruppe genannt wird, aus welcher einzelne, nicht näher konkretisierte Wirkstoffe in Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können oder

- keine Wirkstoffe, Wirkstoffklassen oder -gruppen genannt werden, jedoch das bewertete Arzneimittel zusätzlich zu einer, in der jeweiligen Fachinformation näher beschriebenen therapeutischen Anwendung, für die jedoch keine Angaben zu Wirkstoffen im Rahmen dieser therapeutischen Anwendung aus der Fachinformation hervorgehen, angewendet wird.

Kombinationspartner

Der Kombinationspartner ist ein Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, das in Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel für das zu bewertende Anwendungsgebiet eingesetzt werden kann.

Damit ein Arzneimittel als Kombinationspartner in Betracht kommen kann, muss es zum Beschlussdatum des vorliegenden Beschlusses als Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gemäß § 2 Absatz 1 AM-NutzenV i.V.m den entsprechenden Regelungen im 5. Kapitel VerfO des G-BA einzuordnen sein. Zudem muss das Arzneimittel in dem bewerteten Anwendungsgebiet zugelassen sein, wobei eine Zulassung nur für ein Teilgebiet des bewerteten Anwendungsgebiets ausreichend ist.

Auf der Grundlage einer „unbestimmten Kombination“ muss der Kombinationspartner den Angaben zu der Wirkstoffklasse oder -gruppe oder der therapeutischen Anwendung laut Fachinformation des bewerteten Arzneimittels im bewerteten Anwendungsgebiet zuzuordnen sein, wobei für die Definition einer Wirkstoffgruppe die entsprechenden Angaben in der Fachinformation des bewerteten Arzneimittels zugrunde gelegt werden.

Zudem dürfen auf Seiten des Kombinationspartners keine Ausschlussgründe für eine Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel vorliegen, insbesondere keine ausschließliche Zulassung als Monotherapie.

Zudem wird auf Grundlage aller Abschnitte der aktuell gültigen Fachinformation des in Betracht kommenden Kombinationspartners geprüft, ob Angaben enthalten sind, nach denen ein Einsatz in Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel im bewerteten Anwendungsgebiet im zulassungsrechtlichen Sinn ausgeschlossen ist. Entsprechende Angaben können beispielsweise Dosierungsangaben oder Warnhinweise sein. Für den Fall, dass das Arzneimittel im Rahmen einer bestimmten oder unbestimmten Kombination angewendet wird, welche das bewertete Arzneimittel nicht umfasst, so ist eine Kombination mit dem bewerteten Arzneimittel ausgeschlossen.

Darüber hinaus dürfen auf Seiten des bewerteten Arzneimittels laut dessen Fachinformation keine spezifischen Angaben enthalten sein, die einen Einsatz in Kombinationstherapie mit dem in Betracht kommenden Kombinationspartner im bewerteten Anwendungsgebiet im zulassungsrechtlichen Sinn ausschließen.

Nicht als Kombinationspartner in Betracht kommen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für die der G-BA gemäß § 35a Absatz 1c Satz 1 SGB V eine Freistellung als Reserveantibiotikum beschlossen hat. Die verfahrensrechtliche Privilegierung der nach § 35a Absatz 1c Satz 1 SGB V freigestellten Reserveantibiotika gilt auch für das als Kombinationspartner in Betracht kommende Arzneimittel entsprechend.

Benennung

Die Arzneimittel, welche als Kombinationspartner nach den voranstehenden Prüfungspunkten bestimmt worden sind, werden durch Angabe des jeweiligen Wirkstoffes und des Handelsnamens benannt. Die Benennung kann mehrere Wirkstoffe umfassen, sofern mehrere Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen in derselben Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können oder aber unterschiedliche Kombinationen mit

verschiedenen Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen der Benennung zugrunde liegen.

Sofern der vorliegende Beschluss zu dem bewerteten Arzneimittel im bewerteten Anwendungsgebiet mehrere Patientengruppen enthält, erfolgt die Benennung von Kombinationspartnern für jede einzelne Patientengruppe gesondert.

Ausnahme von der Benennung

Von der Benennung wurden Kombinationstherapien ausgenommen, für die – patientengruppenbezogen - ein beträchtlicher oder erheblicher Zusatznutzen in einem Beschluss nach § 35a Absatz 3 Satz 1 SGB V festgestellt worden ist oder nach § 35a Absatz 1d Satz 1 SGB V festgestellt wurde, dass die Kombination einen mindestens beträchtlichen Zusatznutzen erwarten lässt. Dabei muss die Kombinationstherapie, die von der Benennung ausgenommen wird, in der Regel identisch sein mit der Kombinationstherapie, die den voranstehenden Feststellungen zugrunde lag.

Bei Benennungen auf der Grundlage von unbestimmten Kombinationen werden nur jene Kombinationspartner aufgrund eines Beschlusses nach § 35a Absatz 3 Satz 1 SGB V für das bewertete Arzneimittel, in dem ein beträchtlicher oder erheblicher Zusatznutzen festgestellt worden war, von der Benennung ausgenommen, die zum Zeitpunkt dieses Beschlusses zugelassen waren.

Rechtswirkungen der Benennung

Die Benennung von Kombinationen erfolgt gemäß den gesetzlichen Vorgaben nach § 35a Absatz 3 Satz 4 und dient ausschließlich der Umsetzung des Kombinationsabschlages nach § 130e SGB V zwischen Krankenkassen und pharmazeutischen Unternehmen. Mit der Benennung ist keine Aussage dahingehend verbunden, inwieweit eine Therapie mit dem zu bewertenden Arzneimittel in Kombination mit benannten Arzneimitteln dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse entspricht. Die Prüfung wurde ausschließlich auf Grundlage der arzneimittelzulassungsrechtlichen Möglichkeit eines Einsatzes der Arzneimittel in Kombinationstherapie im bewerteten Anwendungsgebiet auf der Grundlage von Fachinformationen vorgenommen; der allgemein anerkannte Stand der medizinischen Erkenntnisse oder die Anwendung der Arzneimittel in der Versorgungsrealität waren aufgrund des fehlenden Bewertungsauftrages des G-BA im Rahmen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V nicht Gegenstand der Prüfung.

Die getroffenen Feststellungen schränken weder den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum ein, noch treffen sie Aussagen über Zweckmäßigkeit oder Wirtschaftlichkeit.

Begründung für die Feststellungen zur Benennung im vorliegenden Beschluss:

- a1) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie geeignet sind und diese noch nicht erhalten haben; Zweitlinienbehandlung

Keine Benennung von in Kombinationstherapie einsetzbaren Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, da es sich bei dem zu bewertenden Wirkstoff um einen in Monotherapie zugelassenen Wirkstoff handelt.

Referenzen:

Fachinformation zu Erdafitinib (Balversa); Balversa 3 mg/-4 mg/-5 mg Filmtabletten;
Stand: Februar 2025

- a2) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Cisplatin-haltige Chemotherapie *nicht* geeignet sind; Zweitlinienbehandlung

Keine Benennung von in Kombinationstherapie einsetzbaren Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, da es sich bei dem zu bewertenden Wirkstoff um einen in Monotherapie zugelassenen Wirkstoff handelt.

Referenzen:

Fachinformation zu Erdafitinib (Balversa); Balversa 3 mg/-4 mg/-5 mg Filmtabletten;
Stand: Februar 2025

- b) Erwachsene mit nicht resezierbarem oder metastasiertem Urothelkarzinom, welches bestimmte genetische Veränderungen des FGFR3 aufweist, nach vorheriger Therapie mit Platin-haltiger Chemotherapie und einem PD-1- oder PD-L1-Inhibitor im nicht resezierbaren oder metastasierten Stadium, und die für eine Chemotherapie geeignet sind; Drittlinienbehandlung

Keine Benennung von in Kombinationstherapie einsetzbaren Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, da es sich bei dem zu bewertenden Wirkstoff um einen in Monotherapie zugelassenen Wirkstoff handelt.

Referenzen:

Fachinformation zu Erdafitinib (Balversa); Balversa 3 mg/-4 mg/-5 mg Filmtabletten;
Stand: Februar 2025

2.6 Anteil der Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V

Bei dem Arzneimittel Balversa mit dem Wirkstoff Erdafitinib handelt es sich um ein nach dem 1. Januar 2025 in Verkehr gebrachtes Arzneimittel. Gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V hat der G-BA bei einem solchen Arzneimittel festzustellen, ob die klinischen Prüfungen des Arzneimittels zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V durchgeführt wurden. Das ist der Fall, wenn der Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an den klinischen Prüfungen des zu bewertenden Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, an der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer mindestens fünf Prozent beträgt.

Basis für die Berechnung sind nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 7 SGB V alle vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen Studien, die er als Teil des Nutzenbewertungsdossiers in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet an den G-BA zu übermitteln hat. Bezüglich der Zulassungsstudien werden alle Studien einbezogen, welche der Zulassungsbehörde im Zulassungsdossier für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden (vgl. dazu § 4 Absatz 6 Satz 1 und 2 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 VerfO).

Der pharmazeutische Unternehmer verweist im Zusammenhang mit der Berechnung des Anteils der Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V darauf, dass nicht alle Studien im Anwendungsgebiet durchgeführt wurden und folglich die in diese Studien eingeschlossenen Patientinnen und Patienten nicht für die Berechnung des Anteils der Prüfungsteilnehmer an klinischen Prüfungen zu dem zu bewertenden Arzneimittel in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet zu berücksichtigen seien.

Entsprechend bezieht er die Studien BLC2002, EDI1001 und die Kohorte 2 der Studie THOR (BLC3001) nicht in die Berechnung mit ein. Dies ist unzutreffend, weil diese klinischen Prüfungen mit Erdafitinib zum Zweck der Zulassung von Balversa durchgeführt wurden und der Zulassungsbehörde im Rahmen des Abschnitt 2.7.4 des Zulassungsdossiers (Summary of Clinical Safety) für die Beurteilung des Nutzen-Risiko-Verhältnisses in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet an die Zulassungsbehörde übermittelt wurden.

Pharmazeutische Unternehmer sind gem. § 4 Abs. 6 Satz 1 und 2 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 9 Absatz 4 Satz 1 und 2 VerfO verpflichtet, im Dossier unter anderem alle Studien vorzulegen, die der Zulassungsbehörde übermittelt worden sind. Diese Studien sind die nach § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 7 SGB V von dem pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Studien, bezüglich derer er im Dossier die Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmer vorzulegen hat. Es sind gem. § 35a Abs. 1 Satz 3 Nr. 7 SGB V alle klinischen Prüfungen des Arzneimittels in die Entscheidung über den relevanten Anteil an Prüfungsteilnehmern im Geltungsbereich des SGB V einzubeziehen. Somit sind die klinischen Prüfungen und sonstigen Studien, die der Zulassungsbehörde im Zulassungsdossier für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden, für die Ermittlung des maßgeblichen Anteils der Prüfungsteilnehmer im Sinne des § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 7 i.V.m. Abs. 3 Satz 5 SGB V relevant. Die Übermittlung an die Zulassungsbehörde umfasst die im Abschnitt 2.7.4 des Zulassungsdossiers genannten klinischen Prüfungen, die somit in ihrer Gänze für die Feststellung heranzuziehen sind, ob die klinischen Prüfungen des Arzneimittels zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 7 i.V.m. Absatz 3 Satz 5 SGB V durchgeführt wurden.

Der pharmazeutische Unternehmer hat weder im Dossier noch im Stellungnahmeverfahren Angaben für die Berechnung des relevanten Anteils zu den im Zulassungsdossier enthaltenen klinischen Prüfungen BLC2002, EDI1001 und die Kohorte 2 der Studie THOR (BLC3001) eingereicht. Somit wurden vom pharmazeutischen Unternehmer unzureichende Angaben zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben und zur Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer und -teilnehmerinnen gemacht. Aufgrund der unzureichenden Angaben kann daher für das Arzneimittel Balversa mit dem Wirkstoff Erdafitinib nicht die Feststellung getroffen werden, dass die maßgeblichen klinischen Prüfungen zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V durchgeführt wurden.

3. Bürokratiekostenermittlung

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

4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 7. Mai 2024 die zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt.

Am 20. Dezember 2024 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 Verfo fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Erdafitinib beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit Schreiben vom 7. Januar 2025 in Verbindung mit dem Beschluss des G-BA vom 1. August 2011 über die Beauftragung des IQWiG hinsichtlich der Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a SGB V mit der Bewertung des Dossiers zum Wirkstoff Erdafitinib beauftragt.

Die Dossierbewertung des IQWiG wurde dem G-BA am 28. März 2025 übermittelt und mit der Veröffentlichung am 1. April 2025 auf den Internetseiten des G-BA das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 22. April 2025.

Die mündliche Anhörung fand am 5. Mai 2025 statt.

Zur Vorbereitung einer Beschlussempfehlung hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG § 35a) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreterinnen und Vertreter der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreterinnen und Vertreter des IQWiG an den Sitzungen teil.

Die Auswertung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 11. Juni 2025 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 18. Juni 2025 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	7. Mai 2024	Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie
AG § 35a	29. April 2025	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	5. Mai 2025	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	13.05.2025; 03.06.2025	Beratung über die Dossierbewertung des IQWiG, Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	11. Juni 2025	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	18. Juni 2025	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 18. Juni 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken