

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)

Blinatumomab (Neues Anwendungsgebiet: Akute
lymphatische B-Zell-Leukämie, rezidiviert / refraktär, ≥ 1
Monat bis < 1 Jahr, nach ≥ 2 Vortherapien oder nach
allogener Stammzelltransplantation)

Vom 21. August 2025

Inhalt

| | | |
|------------|--|-----------|
| 1. | Rechtsgrundlage | 2 |
| 2. | Eckpunkte der Entscheidung | 3 |
| 2.1 | Zusatznutzen des Arzneimittels | 4 |
| 2.1.1 | Zugelassenes Anwendungsgebiet von Blinatumomab (Blincyto) gemäß Fachinformation | 4 |
| 2.1.2 | Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise | 4 |
| 2.1.3 | Kurzfassung der Bewertung | 7 |
| 2.2 | Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen | 7 |
| 2.3 | Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung | 8 |
| 2.4 | Therapiekosten | 8 |
| 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 | 11 |
| 3. | Bürokratiekostenermittlung | 15 |
| 4. | Verfahrensablauf | 15 |

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) den Nutzen aller erstattungsfähigen Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen.

Für Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens (Orphan Drugs), die nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen sind, gilt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbsatz SGB V der medizinische Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Nachweise zum medizinischen Nutzen und zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie müssen nicht vorgelegt werden (§ 35a Absatz 1 Satz 11 2. Halbsatz SGB V). § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbsatz SGB V fingiert somit einen Zusatznutzen für ein zugelassenes Orphan Drug, obschon eine den in § 35a Absatz 1 Satz 3 Nr. 2 und 3 SGB V i.V.m. 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) niedergelegten Grundsätzen entsprechende Bewertung des Orphan Drugs nicht durchgeführt worden ist. Unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise ist gemäß § 5 Absatz 8 AM-NutzenV nur das Ausmaß des Zusatznutzens zu quantifizieren.

Die aus der gesetzlich angeordneten Bindung an die Zulassung resultierenden Beschränkungen bei der Nutzenbewertung von Orphan Drugs entfallen jedoch, wenn der Umsatz des Arzneimittels mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag von 30 Millionen Euro übersteigt. Dann hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den G-BA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom G-BA entsprechend 5. Kapitel § 6 VerfO festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie, zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Gemäß § 35a Absatz 2 SGB V entscheidet der G-BA, ob er die Nutzenbewertung selbst durchführt oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) beauftragt. Ausgehend von der gesetzlichen Vorgabe in § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V, dass der Zusatznutzen eines Orphan Drug durch die Zulassung als belegt gilt, hat der G-BA in seiner Sitzung vom 15. März 2012 das Verfahren der Nutzenbewertung von Orphan Drugs dahingehend modifiziert, dass bei Orphan Drugs zunächst keine eigenständige Festlegung einer zweckmäßigen Vergleichstherapie mehr durch den G-BA als Grundlage der insoweit allein rechtlich zulässigen Bewertung des Ausmaßes eines gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens erfolgt. Vielmehr wird ausschließlich auf der Grundlage der Zulassungsstudien das Ausmaß des Zusatznutzens unter Angabe der Aussagekraft der Nachweise durch den G-BA bewertet.

Dementsprechend hat der G-BA in seiner Sitzung am 15. März 2012 den mit Beschluss vom 1. August 2011 erteilten Auftrag an das IQWiG zur Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 2 SGB V in der Weise abgeändert, dass bei Orphan Drugs eine Beauftragung des IQWiG mit der Durchführung einer Nutzenbewertung bei zuvor festgelegter Vergleichstherapie erst dann erfolgt, wenn der Umsatz des betreffenden Arzneimittels die Umsatzschwelle gemäß § 35a Absatz 1 Satz 12 SGB V überschritten hat und damit einer uneingeschränkten Nutzenbewertung unterliegt. Die Bewertung des G-BA 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

Der Wirkstoff Blinatumomab (Blinicyto) wurde am 15. Dezember 2015 erstmals in der Großen Deutschen Spezialitäten-Taxe (Lauer-Taxe) gelistet.

Am 23. Januar 2025 hat Blinatumomab die Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet erhalten, das als größere Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nummer 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) Nummer 1234/2008 der Kommission vom 24. November 2008 über die Prüfung von Änderungen der Zulassungen von Human- und Tierarzneimitteln (ABl. L 334 vom 12.12.2008, Satz 7) eingestuft wird.

Blinatumomab zur Behandlung akuten lymphatischen B-Zell-Leukämie ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

Gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V gilt der Zusatznutzen durch die Zulassung als belegt. Das Ausmaß des Zusatznutzens und die Aussagekraft der Nachweise werden auf der Grundlage der Zulassungsstudien durch den G-BA bewertet.

Der pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht am 18. Februar 2025, d.h. spätestens innerhalb von vier Wochen nach der Unterrichtung des pharmazeutischen Unternehmers über die Genehmigung für ein neues Anwendungsgebiet, ein Dossier gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 2 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 2 der Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA zum Wirkstoff Blinatumomab mit dem neuen Anwendungsgebiet: „BLINCYTO® wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von 1 Monat oder älter mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist.“ eingereicht.

Der G-BA hat die Nutzenbewertung durchgeführt und das IQWiG mit der Bewertung der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers in Modul 3 des Dossiers zu Therapiekosten und Patientenzahlen beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 2. Juni 2025 zusammen mit der Bewertung des IQWiG 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 seinen Beschluss auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom G-BA durchgeführten Dossierbewertung, der vom IQWiG erstellten Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen (IQWiG G21-25) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen getroffen.

Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der G-BA die für die Zulassung relevanten Studien nach Maßgabe der in 5. Kapitel § 5 Absatz 7 Satz 1 Nummer 1 bis 4 VerfO festgelegten Kriterien in Hinblick auf ihre therapeutische Relevanz (qualitativ) bewertet. Auf die vom IQWiG vorgeschlagene Methodik gemäß den Allgemeinen Methoden wurde in der Nutzenbewertung von Wirkstoff 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

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Blinatumomab (Blincyto) gemäß Fachinformation

Blincyto wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von 1 Monat oder älter mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 21. August 2025):

Blincyto wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist.

2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise

Pädiatrische Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Blinatumomab wie folgt bewertet:

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

Begründung:

Datengrundlage

Der pharmazeutische Unternehmer nimmt im Dossier für die Bestimmung des Ausmaßes des Zusatznutzens für Säuglinge (Kinder ≥ 1 Monat und < 1 Jahr) mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-, CD19+ B-Vorläufer ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie sowie für Säuglinge (Kinder ≥ 1 Monat und < 1 Jahr) mit refraktärer Ph-, CD19+ B-Vorläufer ALL mittels Evidenztransfer Bezug auf die bereits durchgeführten Nutzenbewertungsverfahren für Kinder ≥ 1 Jahr. Die Beschreibung des Zusatznutzens wird hierbei vom pharmazeutischen Unternehmer getrennt für Säuglinge (Kinder ≥ 1 Monat und < 1 Jahr) mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-, CD19+ B-Vorläufer ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie bzw. für Säuglinge (Kinder ≥ 1 Monat und < 1 Jahr) mit refraktärer Ph-, CD19+ B-Vorläufer ALL dargestellt.

Der pharmazeutische Unternehmer verweist zur Übertragbarkeit auf refraktäre Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr auf die einarmige, multizentrische Studie der Phase I/II MT103-205 aus dem Nutzenbewertungsverfahren (Beschluss vom 15. August 2019) von Blinatumomab bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Jahr und < 18 Jahre, bei dem ein nicht quantifizierbarer Zusatznutzen festgestellt wurde¹. In der Studie MT103-205 wurden pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter ≥ 28 Tage bis $<$

¹ Blinatumomab für pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Jahr bis < 18 Jahre mit r/r B-Zell-ALL – Beschluss vom 15. August 2019

18 Jahre mit B-ALL, die nach ≥ 2 vorangegangenen Therapien oder nach einer vorangegangenen allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation rezidiert oder die refraktär gegenüber anderen Behandlungen sind, untersucht.

Im Dossier werden vom pharmazeutischen Unternehmer Säuglinge (≥ 1 Monat bis < 1 Jahr) mit einem Rezidiv auf Grundlage der Zulassungserweiterung der EMA dem Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph-, CD19+ B-Vorläufer ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie zugeordnet. Gemäß den Ausführungen des pharmazeutischen Unternehmers fallen aufgrund der Definition eines jeglichen Rezidivs innerhalb 18 Monaten nach Erstdiagnose als Hochrisiko-Rezidiv alle Säuglinge, die ein Rezidiv erleiden, in das Anwendungsgebiet des Hochrisiko-Erstrezidiv der Ph- CD19+ B-Vorläufer ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie. Dieses im Dossier Modul 4 beschriebene Anwendungsgebiet entspricht nach Einschätzung des pharmazeutischen Unternehmers dem Anwendungsgebiet eines früheren Nutzenbewertungsverfahrens zu Blinatumomab (Beschluss vom 20. Januar 2022)². Bewertungsgrundlage dieses Verfahrens war die Studie 202120215. Diese Studie ist eine multizentrische, randomisierte, kontrollierte, offene Phase-III-Studie mit pädiatrischen Patientinnen und Patienten mit Hochrisiko-Erstrezidiv einer Ph- CD19+ B-ALL zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Blinatumomab als Konsolidierungstherapie gegenüber einer Hochrisikokonsolidierungstherapie. Eine Teilnahme war ab dem Alter 28 Tage möglich, es wurden jedoch nur Personen im Alter ≥ 1 Jahr bis < 18 Jahre eingeschlossen. Im Rahmen des Nutzenbewertungsverfahrens wurde ein erheblicher Zusatznutzen auf Grundlage der Daten zum Gesamtüberleben, Ereignisfreien Überlebens und zu den Nebenwirkungen festgestellt.

Im Bewertungsbericht der Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA)³ werden die Ergebnisse einer systematischen Literaturrecherche zu Blinatumomab-Studien beschrieben. Zwei vom pharmazeutischen Unternehmer gesponserte Studien untersuchten Patientinnen und Patienten mit r/r B-ALL im Alter < 1 Jahr. Gemäß EPAR wurden in der einarmigen multizentrischen, Expanded Access Studie RIALTO 6 Teilnehmende und in der einarmigen Phase2-Studie MT103-205 3 Teilnehmende im Alter ≥ 28 Tage und < 1 Jahr im vorliegenden Anwendungsgebiet eingeschlossen. Auf Grund der geringen Anzahl an Personen < 1 Jahr (N=9) ist eine Bewertung der Wirksamkeit von Blinatumomab nach Einschätzung der EMA nicht möglich, weshalb die entsprechende Zulassung für pädiatrische Patientinnen und Patienten < 1 Jahr auf einer populations-pharmakokinetischen (pop PK) bzw. mechanistischen Physiologie-basierten pharmakokinetischen (M-PBPK) Modellierung von Personen ≥ 1 Jahr im gleichen Anwendungsgebiet basiert. Auf der Basis dieser Modellierung geht die EMA von einer vergleichbaren Wirksamkeit und Sicherheit von Blinatumomab bei Säuglingen und älteren pädiatrischen Patientinnen und Patienten aus.

Der pharmazeutische Unternehmer hat die benannten klinischen Daten der 9 Personen im Alter < 1 Jahr aus den einarmigen Studien MT103-205 und RIALTO im vorliegenden Nutzenbewertungsverfahren nicht vorgelegt.

Bewertung

Eine Übertragung des Zusatznutzens auf Basis der vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegten Informationen ist aufgrund folgender Punkte weder von refraktären Patientinnen

² Blinatumomab für pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Jahr bis < 18 Jahre mit Hochrisiko-Erstrezidiv der B-Zell-ALL – Beschluss vom 20. Januar 2022

³ **European Medicines Agency (EMA)**. Blincyto (Blinatumomab): European public assessment report EMEA/H/C/003731/0000 [online]. 07.12.2015. Amsterdam (NED): EMA. [Zugriff: 06.03.2025]. URL: https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/blincyto-epar-public-assessment-report_en.pdf.

und Patienten im Alter von > 1 Jahr noch von Patientinnen und Patienten mit Hochrisiko-Erstrezidiv > 1 Jahr auf die Population im vorliegenden Anwendungsgebiet möglich, was im Folgenden begründet wird:

Für Säuglinge mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist, liegen keine klinischen Studien vor. Es sind lediglich Einzelfallberichte vorhanden. Die klinischen Daten der 9 Personen im Alter < 1 Jahr aus den einarmigen Studien MT103-205 und RIALTO der Literaturrecherche der EMA wurden nicht für die Nutzenbewertung vorgelegt.

Die klinischen Experten haben in der mündlichen Anhörung ausgeführt, dass Hochrisikorezidive als Rezidive innerhalb der ersten 18 Monate nach Diagnosestellung definiert sind, womit alle Rezidive im Säuglingsalter (bis max. 12 Monate) per Definition Hochrisikorezidive sind. Diesbezüglich argumentiert der pharmazeutische Unternehmer, dass ein Rezidiv im Säuglingsalter aufgrund einer mehrjährigen Therapiedauer nahezu ausgeschlossen sei. Dieser Argumentation kann gefolgt werden, allerdings definiert das vorliegende Anwendungsgebiet die Therapiesituation einer Rezidivierung nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation. Somit liegt ein relevanter Unterschied zu der Therapiesituation des Hochrisiko-Erstrezidivs der Ph-CD19+ B-Vorläufer ALL im Rahmen der Konsolidierungstherapie vor. Im Ergebnis kann insgesamt nicht mit hinreichender Sicherheit von einer Vergleichbarkeit der Patientenspopulationen ausgegangen werden.

In Bezug auf refraktäre Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr verweist der pharmazeutische Unternehmer für eine Übertragung des Zusatznutzens auf die refraktären pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Jahr bis < 18 Jahre der einarmigen, multizentrischen Studie MT103-205 aus dem entsprechenden Nutzenbewertungsverfahren mit Beschluss vom 15. August 2019. Diesem lagen Ergebnisse zu den Endpunktkategorien Mortalität, Morbidität und Nebenwirkungen zugrunde, jedoch war eine vergleichende Bewertung der Studienergebnisse insgesamt nicht möglich. Damit war eine quantitative Beurteilung von Effekten auf der Grundlage der vorgelegten Daten nicht möglich. Demzufolge liegen aus dieser Nutzenbewertung keine Effekte vor, die auf refraktäre Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr übertragen werden könnten.

Fazit

Für Säuglinge mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist, liegen keine vergleichenden Daten aus klinischen Studien zur Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens vor. Der pharmazeutische Unternehmer legt als Nachweis für das Ausmaß des Zusatznutzens einen Evidenztransfer der Ergebnisse der klinischen Studien 20120215 und MT103-205 von älteren pädiatrischen Patientinnen und Patienten auf Säuglinge zugrunde. Dem vom pharmazeutischen Unternehmer angestrebten Evidenztransfer von älteren pädiatrischen Patientinnen und Patienten auf Säuglinge wird hier nicht gefolgt, insbesondere, weil keine vergleichenden Daten für ältere pädiatrische Patientinnen und Patienten im vorliegenden Anwendungsgebiet vorlagen, von denen extrapoliert werden könnte.

Im Ergebnis stuft der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens von Blinatumomab in der Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiviert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiviert ist, als nicht quantifizierbar

ein. Ein Zusatznutzen liegt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt.

Aussagekraft der Nachweise

Aufgrund der Limitationen der verfügbaren Evidenz lässt sich hinsichtlich der Aussagesicherheit ein Anhaltspunkt ableiten.

2.1.3 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung eines neuen Anwendungsgebietes (AWG) für den Wirkstoff Blinatumomab.

Blinatumomab wurde als Orphan Drug zugelassen.

Das vorliegende bewertete Anwendungsgebiet lautet: Blincyto wird als Monotherapie angewendet zur Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiert ist.

Für Säuglinge mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiert ist, liegen keine Daten aus klinischen Studien zur Bewertung des Zusatznutzens vor. Der pharmazeutische Unternehmer legt den Nachweisen zum Zusatznutzen einen Evidenztransfer der Ergebnisse der klinischen Studien MT103-205 und 20120215 von älteren pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Alter von ≥ 1 Jahr bis < 18 Jahre auf Säuglinge im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr zugrunde.

Dem vom pharmazeutischen Unternehmer angestrebten Evidenztransfer von älteren pädiatrischen Patientinnen und Patienten auf Säuglinge wird hier nicht gefolgt, insbesondere, weil keine vergleichenden Daten für ältere pädiatrische Patientinnen und Patienten im vorliegenden Anwendungsgebiet vorlagen, von denen extrapoliert werden könnte.

Im Ergebnis stuft der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens von Blinatumomab in der Behandlung von pädiatrischen Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiert ist, als nicht quantifizierbar ein. Ein Zusatznutzen liegt gemäß § 35a Absatz 1 Satz 11 1. Halbs. SGB V vor, ist aber nicht quantifizierbar, weil die wissenschaftliche Datengrundlage dies nicht zulässt.

Die Aussagesicherheit wird aufgrund der Limitationen der verfügbaren Evidenz mit einem Anhaltspunkt bewertet.

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

Der pharmazeutische Unternehmer schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte.

Dieses Vorgehen des pharmazeutischen Unternehmers zur Schätzung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation ist rechnerisch nachvollziehbar.

Obwohl das Anwendungsgebiet gemäß der Fachinformation⁴ neben den vom pharmazeutischen Unternehmer berücksichtigten refraktären pädiatrischen Patientinnen und Patienten auch jene vorsieht, die ein Rezidiv nach mindestens 2 vorangegangenen Therapien oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation erleiden, ist grundsätzlich nachvollziehbar, dass der pharmazeutische Unternehmer diese Patientinnen und Patienten aufgrund der hier betrachteten Altersspanne von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr und der Dauer der erforderlichen vorangegangenen Therapie nicht berücksichtigt.

Die vom pharmazeutischen Unternehmer angegebene Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation liegt trotz Unsicherheiten in einer plausiblen Größenordnung.

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 Blincyto (Wirkstoff: Blinatumomab) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 4. Juni 2025):

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

Die Einleitung und Überwachung der Therapie mit Blinatumomab soll nur durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit akuter lymphatischer Leukämie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit dem Schwerpunkt Pädiatrische Hämatologie und Onkologie erfolgen.

Gemäß der Vorgaben der EMA hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers Schulungsmaterial für Ärzte, Apotheker, medizinisches Fachpersonal und Patienten / Pflegepersonen sowie eine Patientenkarte zur Verfügung zu stellen.

Das Schulungsmaterial enthält insbesondere Hinweise zur Verabreichung von BLINCYTO und zu neurologischen Ereignissen.

2.4 Therapiekosten

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

Gemäß Fachinformation beträgt die zugelassene Dosierung (Körperoberfläche(KOF)-basierte Dosis) bei Personen mit < 45 kg Körpergewicht für Tag 1–7 $5 \mu\text{g}/\text{m}^2$ /Tag (darf $9 \mu\text{g}/\text{Tag}$ nicht überschreiten) und für Tag 8–28 $15 \mu\text{g}/\text{m}^2$ /Tag (darf $28 \mu\text{g}/\text{Tag}$ nicht überschreiten). Ein einzelner Behandlungszyklus umfasst eine Dauerinfusion über 28 Tage (4 Wochen). Die Behandlungszyklen werden durch ein 14-tägiges (2-wöchiges) behandlungsfreies Intervall getrennt. Personen, die nach 2 Behandlungszyklen eine komplette Remission (komplette Remission (CR) / komplette Remission mit teilweiser hämatologischer Erholung (CRh*)) erreicht haben, können auf Grundlage einer individuellen Nutzen-Risiko-Abwägung bis zu 3 weitere Zyklen Blinatumomab als Konsolidierungstherapie in einer KOF-basierten Dosis von $15 \mu\text{g}/\text{m}^2/\text{Tag}$ (darf $28 \mu\text{g}/\text{Tag}$ nicht überschreiten) erhalten.

⁴ Amgen. Fachinformation BLINCYTO 38,5 Mikrogramm Pulver für ein Konzentrat und Lösung zur Herstellung einer Infusionslösung. Stand: Januar 2025 [online]. 2025. URL: <https://www.fachinfo.de/>.

Der Verbrauch richtet sich für pädiatrische Patientinnen und Patienten < 45 kg nach der Körperoberfläche. Für die Berechnungen werden die DuBois-Formel und die durchschnittlichen Körpermaße für unter 1-Jährige gemäß den Mikrozensusdaten aus dem Jahr 2017 zugrunde gelegt⁵. Es ergibt sich daraus eine Körperoberfläche von 0,36 m².

Die einzelne Blinatumomab-Zubereitung kann bis zu 96 Stunden infundiert werden. Für die Berechnung der Therapiekosten wurde jeweils diejenige Infusionsdauer herangezogen, die mit dem geringsten Blinatumomab-Verbrauch verbunden ist.

Behandlungsdauer:

| Bezeichnung der Therapie | Behandlungsmodus | Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr | Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage) | Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr |
|-----------------------------|-----------------------------------|--|-------------------------------------|---|
| Zu bewertendes Arzneimittel | | | | |
| Blinatumomab | an Tag 1 - 28 eines 28-TageZyklus | 2 - 5 | 28 | 56 - 140 |

⁵ Statistisches Bundesamt. Körpermaße nach Altersgruppen und Geschlecht 2021 [online]. 2023 [Zugriff: 02.09.2024]. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Tabellen/liste-koerpermasse.html>.

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 | | | | | |
| Blinatumomab | 1. Zyklus: 5 µg / m ² / Tag von Tag 1 – 7 15 µg / m ² / Tag Von Tag 8 – 28 | 1. Zyklus: 1,8 µg / Tag von Tag 1 – 7 5,4 µg / Tag Von Tag 8 – 28 | 2 * 38,5 µg | 7 | 15 bis 36 * 38,5 µg |
| | | | 6 * 38,5 µg | 21 | |
| | 2. bis 5. Zyklus: 15 µg / m ² / Tag | Ab 2. Zyklus: 5,4 µg / Tag | 7 * 38,5 µg | 28 - 112 | |

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.

Kosten der Arzneimittel:

Pädiatrische Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiert ist

| Bezeichnung der Therapie | Packungsgröße | Kosten (Apothekenabgabepreis) | Rabatt § 130 SGB V | Rabatt § 130a SGB V | Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte |
|---|---------------|-------------------------------|--------------------|---------------------|---|
| Zu bewertendes Arzneimittel | | | | | |
| Blinatumomab | 1 PLK | 2 615,04 € | 1,77 € | 148,75 € | 2 464,52 € |
| Abkürzungen: PLK= Pulver für ein Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung | | | | | |

Stand Lauer-Taxe: 1. August 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 entsprechend der Fachinformation regelhaft Kosten bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen entstehen, 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.

Für die Kostendarstellung werden keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen berücksichtigt.

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 Unternehmern. 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:

Pädiatrische Patienten im Alter von ≥ 1 Monat bis < 1 Jahr mit Philadelphia-Chromosom-negativer, CD19-positiver B-Zell-Vorläufer-ALL, die refraktär ist oder nach mindestens zwei vorangegangenen Therapien rezidiert ist oder nach vorangegangener allogener hämatopoetischer Stammzelltransplantation rezidiert ist

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.

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

Am 18. Februar 2025 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 2 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Blinatumomab beim G-BA eingereicht.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 2. Juni 2025 zusammen mit der Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA (www.g-ba.de) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 23. Juni 2025.

Die mündliche Anhörung fand am 7. Juli 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 12. August 2025 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 21. August 2025 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

| Sitzung | Datum | Beratungsgegenstand |
|-----------------------------|---------------------------|---|
| Unterausschuss Arzneimittel | 27. Juni 2025 | Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA |
| AG § 35a | 2. Juli 2025 | Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung |
| Unterausschuss Arzneimittel | 7. Juli 2025 | Durchführung der mündlichen Anhörung |
| AG § 35a | 16.07.2025; 06.08.2025 | Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens |
| Unterausschuss Arzneimittel | 12. August 2025 | Abschließende Beratung der Beschlussvorlage |
| Plenum | 21. August 2025 | Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL |

Berlin, den 21. August 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken