

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)

Asciminib (Neubewertung Orphan > 30 Mio: Chronische
myeloische Leukämie, Ph+, nach ≥ 2 Vortherapien)

Vom 20. November 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 Asciminib (Scemblix) gemäß Fachinformation	3
2.1.2	Zweckmäßige Vergleichstherapie	3
2.1.3	Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens	6
2.1.4	Kurzfassung der Bewertung	11
2.2	Anzahl der Patientinnen und Patienten beziehungsweise Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen.....	12
2.3	Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	12
2.4	Therapiekosten	12
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	15
3.	Bürokratiekostenermittlung	18
4.	Verfahrensablauf	18

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.

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

Der Wirkstoff Asciminib (Scemblix) wurde am 25. August 2022 erstmals in der Großen Deutschen Spezialitäten-Taxe (Lauer-Taxe) gelistet. Scemblix zur Behandlung der Chronischen myeloischen Leukämie ist als Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nummer 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 zugelassen.

In seiner Sitzung am 16. März 2023 hat der G-BA über die Nutzenbewertung von Asciminib im Anwendungsgebiet „Scemblix wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden.“ gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Übersteigt der Umsatz des Arzneimittels für seltene Leiden mit der gesetzlichen Krankenversicherung zu Apothekenverkaufspreisen sowie außerhalb der vertragsärztlichen Versorgung einschließlich Umsatzsteuer in den letzten zwölf Kalendermonaten einen Betrag

von 30 Millionen Euro, hat der pharmazeutische Unternehmer innerhalb von drei Monaten nach Aufforderung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss Nachweise nach 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 Verfahrensordnung (VerfO) zu übermitteln und darin den Zusatznutzen gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nachzuweisen.

Der pharmazeutische Unternehmer wurde mit Schreiben vom 18. Februar 2025 aufgrund der Überschreitung der 30 Millionen Euro-Grenze Umsatzgrenze innerhalb des Zeitraums von Januar 2024 bis Dezember 2024 zur Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V bis zum 1. Juni 2025 aufgefordert. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 4 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) in Verbindung mit 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 6 VerfO am 26. Mai 2025 das abschließende Dossier fristgerecht beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit der Bewertung des Dossiers beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 1. September 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 Asciminib 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 vorgetragenen Stellungnahmen sowie des vom IQWiG erstellten Addendums zur Nutzenbewertung 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 Asciminib 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 Asciminib (Scemblix) gemäß Fachinformation

Scemblix wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 20. November 2025):

Siehe zugelassenes Anwendungsgebiet

2.1.2 Zweckmäßige Vergleichstherapie

Die zweckmäßige Vergleichstherapie wurde wie folgt bestimmt:

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

Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Asciminib:

Individualisierte Therapie unter Auswahl von

- Nilotinib,
- Dasatinib,
- Bosutinib und
- Ponatinib

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. Für das vorliegende Anwendungsgebiet sind die zytotoxischen Chemotherapien Busulfan, Cyclophosphamid, Hydroxycarbamid, Mitoxantron und Vindesin sowie die Tyrosinkinase-Inhibitor Bosutinib, Ponatinib, Dasatinib, Imatinib und Nilotinib zugelassen.
- zu 2. Grundsätzlich kommt im Anwendungsgebiet für Patientinnen und Patienten mit Tyrosinkinase-Inhibitor-Vorbehandlungen die allogene Stammzelltransplantation als nicht-medikamentöse Behandlung in Betracht. Für das vorliegende Anwendungsgebiet wird davon ausgegangen, dass die Patientinnen und Patienten zunächst im Rahmen einer remissionsinduzierenden Therapie mit BCR-ABL-TKI behandelt werden. Eine allogene Stammzelltransplantation kann für einen Teil der Patientinnen und Patienten erst nach Erreichen einer Remission in Betracht kommen und ist deshalb nicht Bestandteil der zweckmäßigen Vergleichstherapie.
- zu 3. Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach §35a SGB V:
 - Asciminib (Beschluss vom 16. März 2023)
 - Ponatinib (Beschluss vom 20. November 2020)
 - Bosutinib (Beschluss vom 21. Februar 2019)
- 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.

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 (siehe „Informationen zur zweckmäßigen Vergleichstherapie“). Es liegt eine schriftliche Äußerung der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) sowie der AkdÄ vor.

Entsprechend der in der Evidenzsynopse aufgeführten Leitlinien und unter Berücksichtigung des Zulassungsstatus der Arzneimittel können Patientinnen und Patienten mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die bereits mit mindestens zwei TKI behandelt wurden, in Abhängigkeit von der Vortherapie, der Komorbiditäten und des Mutationsstatus der Patientinnen und Patienten mit einem alternativen TKI oder der allogenen Stammzelltransplantation behandelt werden. Diesbezüglich kommen derzeit die TKI Nilotinib, Dasatinib, Imatinib, Bosutinib und Ponatinib infrage. Nach

Erreichen einer Remission kann für einen Teil der Patientinnen und Patienten eine allogene Stammzelltransplantation in Betracht kommen. Da in Bezug auf das vorliegende Anwendungsgebiet davon ausgegangen wird, dass das primäre Therapieziel zunächst darin besteht, eine Remission zu erzielen und auch nur für einen Teil der Patientinnen und Patienten mit erzielter Remission eine allogene Stammzelltransplantation in Betracht kommt, wird die allogene Stammzelltransplantation nicht als ein Bestandteil für die vorliegende zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt.

Patientinnen und Patienten mit CP-CML, die in der ersten und zweiten Behandlungslinie TKI der 2. Generation erhalten und diese aus Toxizitätsgründen absetzen müssen, können auch auf Imatinib in der dritten Behandlungslinie wechseln. Es ist jedoch davon auszugehen, dass dies nur sehr wenige Patientinnen und Patienten im Anwendungsgebiet in der Versorgung betrifft. Daher wird Imatinib in der vorliegenden Behandlungssituation ein untergeordneter Stellenwert eingeräumt und es wird nicht als eine Behandlungsoption in der zweckmäßigen Vergleichstherapie für Patientinnen und Patienten gesehen, die mit mindestens zwei TKI vorbehandelt sind.

Aus der vorliegenden Evidenz ergibt sich, dass basierend auf den individuellen Kriterien keine Behandlungsoption ableitbar ist, die für die Gesamtheit der Patientenpopulation des vorliegenden Anwendungsgebietes in Betracht kommt. Die Behandlungsentscheidung wird unter Berücksichtigung der Vortherapien sowie der Komorbiditäten und des Mutationsstatus getroffen.

Daher bestimmt der G-BA als zweckmäßige Vergleichstherapie die individualisierte Therapie unter Auswahl von Nilotinib, Dasatinib, Bosutinib und Ponatinib unter Berücksichtigung der Vortherapien sowie der Komorbiditäten und des Mutationsstatus.

Bei einer individualisierten Therapie wird davon ausgegangen, dass eine Auswahl aus mehreren Behandlungsoptionen zur Verfügung steht, die eine individualisierte ärztliche Therapieentscheidung ermöglicht.

Für die Therapieentscheidung sind unter Berücksichtigung der vorliegenden Evidenz insbesondere die Vortherapien, Komorbiditäten und der Mutationsstatus zu berücksichtigen.

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 Asciminib wie folgt bewertet:

- a) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden
 - a1) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, für die Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt

Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen.

- a2) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, für die Nilotinib, Dasatinib oder Ponatinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt.

Begründung:

Für die Nutzenbewertung legt der pharmazeutische Unternehmer die Ergebnisse der Studie ASCEMBL vor. Es handelt sich um eine abgeschlossene multizentrische, offene RCT zum Vergleich von Asciminib mit Bosutinib.

Eingeschlossen wurden erwachsene Patientinnen und Patienten mit chronischer myeloischer Leukämie (CML) in der chronischen Phase, die zuvor mit zwei oder mehr TKIs behandelt worden waren. Voraussetzung für den Einschluss in die Studie war ein Therapieversagen oder eine Intoleranz gegenüber der letzten verabreichten TKI-Therapie.

Zwischen 26. Oktober 2017 und 4. Dezember 2024 wurden insgesamt 233 Patientinnen und Patienten in 87 Zentren in 25 Ländern in Asien, Europa, Nord- und Südamerika und Australien in die Studie ASCEMBL eingeschlossen und im Verhältnis 2:1 zufällig einer Behandlung mit Asciminib (N = 157) oder Bosutinib (N = 76) zugeteilt.

Insgesamt liegen fünf Datenschnitte der Studie ASCEMBL vor:

- 25.05.2020: Analyse des primären Endpunkts nach 24 Wochen Behandlung
- 6.01.2021: von EMA angefordert, nach 48 Wochen Behandlung,
- 6.10.2021: nach 96 Wochen Behandlung
- 22.03.2023: 30 Tage nach Ende der Studienbehandlung
- 4.12.2024: finale Analyse für Gesamtüberleben und progressionsfreies Überleben 5 Jahre nachdem die letzte Patientin/der letzte Patient die erste Dosis Studienmedikation erhalten hat

Für die Nutzenbewertung wurden die Auswertungen zum Datenschnitt 30 Tage nach Ende der Studienbehandlung vom 22. März 2023 sowie zum finalen Datenschnitt vom 4. Dezember 2024 vorgelegt.

Zur Umsetzung der individualisierten Therapie

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurde eine individualisierte Therapie unter Auswahl von Nilotinib, Dasatinib, Bosutinib und Ponatinib bestimmt. Der pharmazeutische Unternehmer legt die Ergebnisse der Studie ASCEMBL vor, in der Asciminib mit Bosutinib verglichen wird.

Da von der zweckmäßigen Vergleichstherapie neben Bosutinib weitere Therapieoptionen umfasst sind, erlaubt die Studie ASCEMBL keine Aussagen zum Zusatznutzen für Patientinnen und Patienten, für die eine andere Therapie als Bosutinib (Nilotinib, Dasatinib, und Ponatinib) die geeignete individualisierte Therapie darstellt.

Der G-BA erachtet es vor diesem Hintergrund als sachgerecht, eine entsprechende Aufteilung der Patientenpopulation vorzunehmen und die Aussage zum Zusatznutzen getrennt für Patientinnen und Patienten, für die Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt (Patientengruppe a1), und Patientinnen und Patienten, für die Nilotinib, Dasatinib, und Ponatinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt (Patientengruppe a2), vorzunehmen.

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

a1) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, für die Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt

Mortalität

Das Gesamtüberleben ist in der Studie ASCEMBL als der Zeitraum zwischen der Randomisierung und Tod aufgrund jeglicher Ursache definiert. Für den Endpunkt Gesamtüberleben zeigte sich kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Morbidität

Progression in die Blastenkrise

Die Blastenkrise war in der Studie ASCEMBL operationalisiert als ein Anteil von $\geq 30\%$ Blasten im Blut oder Knochenmark. Für die Endpunkte Progression in die Blastenkrise zeigt sich kein statistisch signifikanter Unterschied.

Symptomatik und Gesundheitszustand

Es zeigt sich für die Endpunkte Symptomschwere und Beeinträchtigung des alltäglichen Lebens durch Symptome, jeweils erhoben mittels MDASI-CML, statistisch signifikante Unterschiede zum Vorteil von Asciminib gegenüber Bosutinib.

Beim Endpunkt Beeinträchtigung des alltäglichen Lebens zeigt sich eine Effektmodifikation durch das Merkmal Geschlecht. Diesbezüglich liegt ein statistisch signifikanter Unterschied zum Vorteil von Asciminib nur in der Subgruppe der Frauen vor. Für die Bewertung wird das Ergebnis für die Gesamtpopulation herangezogen.

Für die Endpunkte Symptomatik, erhoben mittels PGIC, sowie Gesundheitszustand, erhoben mittels EQ-5D VAS, zeigen sich keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen den Behandlungsarmen.

Aktivitätsbeeinträchtigung (WPAI-CML Frage 6)

Es liegen Ergebnisse zur Frage 6 des Fragebogens WPAI-CML vor. Die Frage 6 des WPAI-CML wird der Kategorie Morbidität zugeordnet. Durch die hinreichende Abdeckung der Aktivitätsbeeinträchtigung der Patientinnen und Patienten mittels des MDASI-CML (Beeinträchtigung des alltäglichen Lebens durch Symptome), wird der WPAI-CML jedoch nicht zur Bewertung herangezogen.

Insgesamt ergibt sich für die Endpunktkategorie Morbidität ein Vorteil für Asciminib gegenüber Bosutinib.

Lebensqualität

Endpunkte zur gesundheitsbezogenen Lebensqualität wurden in der Studie nicht erhoben.

Nebenwirkungen

Unerwünschte Ereignisse (UE) gesamt

In der Studie ASCEMBL trat bei nahezu allen randomisierten Patientinnen und Patienten, mindestens ein unerwünschtes Ereignis auf. Die Ergebnisse werden nur ergänzend dargestellt.

Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE), schwere UE (CTCAE-Grad ≥ 3)

Für die Endpunkte schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE) und schwere UE (CTCAE ≥ 3) zeigt sich jeweils ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zum Vorteil von Asciminib.

Therapieabbrüche aufgrund von UE

Für den Endpunkt Abbruch wegen Nebenwirkungen zeigt sich ein statistisch signifikanter Unterschied zum Vorteil von Asciminib gegenüber Bosutinib

Spezifische unerwünschte Ereignisse

Bei den schweren UE zeigen sich im Detail Vorteile für Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums, Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts, Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes, Alaninaminotransferase erhöht und Aspartataminotransferase erhöht.

Bei dem schweren UE Thrombozytopenie zeigt sich im Detail ein statistisch signifikanter Unterschied zum Nachteil von Asciminib.

Gesamtbewertung / Fazit

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Asciminib für die Behandlung von Erwachsenen mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, wurde die RCT ASCEMBL vorgelegt, in welcher Asciminib mit Bosutinib verglichen wurde. Die Studie ist für die Bewertung des Zusatznutzens für die Patientinnen und Patienten im Anwendungsgebiet geeignet, für welche Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie dargestellt. Es liegen Ergebnisse zur Mortalität, Morbidität und Nebenwirkungen vor.

Die Ergebnisse zum Endpunkt Gesamtüberleben zeigen keinen statistisch signifikanten Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen.

In der Endpunktkategorie Morbidität zeigen sich für die Endpunkte Progression in die Blastenkrise, Symptomatik (erhoben mittels PGIC) sowie Gesundheitszustand (erhoben mittels EQ-5D VAS) keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen den Behandlungsgruppen. Es ergeben sich Vorteile in den Endpunkten Symptomschwere und Beeinträchtigung des alltäglichen Lebens durch Symptome (erhoben mittels MDASI-CML), die als moderat gewertet werden.

In der Endpunktkategorie Nebenwirkungen lässt sich ein Vorteil für Asciminib für schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUEs), schwere unerwünschte Ereignisse (schwere

UEs) und Abbruch wegen unerwünschten Ereignissen feststellen. Im Detail zeigen sich Vorteile bei den schweren UE Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums, Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts, Erkrankungen der Haut und des Unterhautgewebes, Alaninaminotransferase erhöht und Aspartataminotransferase erhöht sowie ein Nachteil für den Endpunkt Thrombozytopenie (schwere UEs). Insgesamt werden die Ergebnisse zu den Nebenwirkungen als eine deutliche Verbesserung gewertet.

In einer Abwägungsentscheidung gelangt der G-BA insgesamt zu dem Ergebnis, dass für Asciminib zur Behandlung von Erwachsenen mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, und für die Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt ein geringer Zusatznutzen gegenüber Bosutinib vorliegt.

Aussagesicherheit (Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens)

Die vorliegende Bewertung basiert auf den Ergebnissen der offenen, randomisierten, multizentrischen Phase-III-Studie ASCEMBL.

Das Verzerrungspotenzial auf Studienebene wird aufgrund des offenen Studiendesigns als hoch eingestuft.

Das Verzerrungspotenzial für die Ergebnisse zu patientenberichteten Endpunkte (PGIC, MDASI-CML, EQ-5D VAS) sowie für die Ergebnisse zum Endpunkt Abbruch wegen UEs wird ebenfalls aufgrund des offenen Studiendesigns als hoch eingeschätzt.

Die Ergebnissicherheit für den Endpunkt Abbruch wegen UEs ist zusätzlich dadurch eingeschränkt, dass ein vorzeitiger Therapieabbruch auch aus anderen Gründen als UEs erfolgen kann. Diese Gründe stellen ein konkurrierendes Ereignis für den zu erfassenden Endpunkt Abbruch wegen UEs dar.

Da die Ergebnisse zu den weiteren Endpunkten zu Nebenwirkungen, aus denen sich zum größten Teil der festgestellte Zusatznutzen ableitet, überwiegend eine hohe Aussagekraft aufweisen, kann trotz der beschriebenen Limitationen auf der vorliegenden Datengrundlage insgesamt ein Hinweis auf einen Zusatznutzen abgeleitet werden.

a2) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, für die Nilotinib, Dasatinib oder Ponatinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt

Es wurden keine Daten zum Vergleich gegenüber Nilotinib, Dasatinib oder Ponatinib vorgelegt.

Ein Zusatznutzen ist für Asciminib zur Behandlung von Erwachsenen mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden und für die Nilotinib, Dasatinib oder Ponatinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt, gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie nicht belegt.

2.1.4 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die erneute Nutzenbewertung des Wirkstoffes Asciminib aufgrund der Überschreitung der 30 Mio. Euro Umsatzgrenze.

Asciminib wurde als Orphan Drug für die Therapie Erwachsener mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, zugelassen.

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurde die individualisierte Therapie unter Auswahl von Nilotinib, Dasatinib, Bosutinib und Ponatinib unter Berücksichtigung der Vortherapien sowie der Komorbiditäten und des Mutationsstatus, bestimmt.

Für die Nutzenbewertung legt der pharmazeutische Unternehmer die Ergebnisse der Studie ASCEMBL vor.

Vom G-BA wurde eine getrennte Bewertung des Zusatznutzens in Abhängigkeit von der geeigneten individualisierten Therapie vorgenommen:

a1) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, für die Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt

Für Patientinnen und Patienten, für die Bosutinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt, werden die vom pharmazeutischen Unternehmer vorgelegten Daten der Studie ASCEMBL herangezogen.

Die Ergebnisse zum Endpunkt Gesamtüberleben zeigen keinen statistisch signifikanten Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen.

In der Endpunktkategorie Morbidität zeigen sich für die Endpunkte Progression in die Blastenkrise, Symptomatik sowie Gesundheitszustand keine statistisch signifikanten Unterschiede. Für die Endpunkte Symptomschwere und Beeinträchtigung des alltäglichen Lebens durch Symptome (erhoben mittels MDASI-CML) zeigen sich statistisch signifikante Unterschiede zum Vorteil von Asciminib gegenüber Bosutinib, die als moderat gewertet werden.

In der Endpunktkategorie Nebenwirkungen lässt sich ein Vorteil für Asciminib für schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUEs), schwere unerwünschte Ereignisse (schwere UEs) und Abbruch wegen unerwünschten Ereignissen feststellen. Im Detail zeigen sich Vorteile und ein Nachteil bei spezifischen UE. Insgesamt werden die Ergebnisse zu den Nebenwirkungen als eine deutliche Verbesserung gewertet.

Insgesamt wird ein geringer Zusatznutzen festgestellt.

Die Aussagesicherheit des festgestellten Zusatznutzens wird in die Kategorie „Hinweis“ eingestuft.

a2) Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden, für die Nilotinib, Dasatinib oder Ponatinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt

Für Patientinnen und Patienten, für die Nilotinib, Dasatinib oder Ponatinib die geeignete individualisierte Therapie darstellt, liegen aus der Studie ASCEMBL keine Daten vor. Der Zusatznutzen ist für diese Teilpopulation somit nicht belegt.

2.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten beziehungsweise 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. Unsicherheiten bestehen insbesondere aus den folgenden Gründen:

- Bei der Berechnung der Prävalenz ist nicht auszuschließen, dass einige Patientinnen und Patienten ausschließlich auf Basis von Nebendiagnosen einbezogen wurden.
- Bei der Berechnung des Anteils der Patientinnen und Patienten mit ≥ 2 TKI-Vortherapien kommen potenziell weitere Patientinnen und Patienten für das vorliegende Anwendungsgebiet infrage.

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 Scemblix (Wirkstoff: Asciminib) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 7. August 2025):

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

Die Einleitung und Überwachung der Therapie mit Asciminib soll nur durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit chronischer myeloischer Leukämie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie erfolgen.

2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 15. September 2025). Für die Berechnung der Therapiekosten wird in der Regel der nach der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nächstliegende aktualisierte Stand der Lauer-Taxe zugrunde gelegt.

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.

Bei Dosierungen in Abhängigkeit von Körpergewicht (KG) oder Körperoberfläche (KOF) wurden für Erwachsene die durchschnittlichen Körpermaße aus der amtlichen Repräsentativstatistik „Mikrozensus 2021 – Körpermaße der Bevölkerung“ zugrunde gelegt

(durchschnittliche Körpergröße: 1,72 m, durchschnittliches Körpergewicht: 77,7 kg). Hieraus berechnet sich eine KOF von 1,91 m² (Berechnung nach Du Bois 1916)².

Behandlungsdauer:

Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Asciminib	kontinuierlich 2 x täglich	730	1	365
Zweckmäßige Vergleichstherapie				
Nilotinib	kontinuierlich 2 x täglich	730	1	365
Dasatinib	kontinuierlich 1 x täglich	365	1	365
Bosutinib	kontinuierlich 1 x täglich	365	1	365
Ponatinib	kontinuierlich 1 x täglich	365	1	365

Verbrauch:

Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden

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					
Asciminib	40 mg	80 mg	2 x 40 mg	365	730 x 40 mg

² Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (2021, beide Geschlechter, ab 15 Jahren), www.gbe-bund.de

Bezeichnung der Therapie	Dosierung/Anwendung	Dosis/Patientin bzw. Patient/Behandlungstage	Verbrauch nach Wirkstärke/Behandlungstag	Behandlungstag e/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Jahresdurchschnittsverbrauch nach Wirkstärke
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Nilotinib	400 mg	800 mg	4 x 200 mg	365	1 460 x 200 mg
Dasatinib	100 mg	100 mg	1 x 100 mg	365	365 x 100 mg
Bosutinib	500 mg	500 mg	1 x 500 mg	365	365 x 500 mg
Ponatinib	45 mg	45 mg	1 x 45 mg	365	365 x 45 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 § 130 a 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:

Bezeichnung der Therapie	Packungsgröße	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel					
Asciminib 40 mg	180 FTA	15 780,78 €	1,77 €	897,95 €	14 881,06 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Bosutinib 500 mg	28 FTA	1 979,55 €	1,77 €	94,08 €	1 883,70 €
Dasatinib 100 mg	30 FTA	822,56 €	1,77 €	38,50 €	782,29 €
Nilotinib 200 mg	112 HKP	3 857,33 €	1,77 €	186,00 €	3 669,56 €
Ponatinib 45 mg	30 FTA	6 694,06 €	1,77 €	379,01 €	6 313,28 €
Abkürzungen: FTA = Filmtabletten; HKP = Hartkapseln					

Stand Lauer-Taxe: 15. September 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.

Da bei der Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie entsprechend der Fachinformation keine regelhaften Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen bestehen, waren keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zu berücksichtigen.

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 beziehungsweise § 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 in Verbindung mit 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:

Erwachsene mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP), die zuvor mit zwei oder mehr Tyrosinkinase-Inhibitoren behandelt wurden

Kein in Kombinationstherapie einsetzbares Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen, für das die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt sind.

Referenzen:

Fachinformation zu Asciminib (Scemblix); Scemblix 20 mg Filmtabletten Scemblix 40 mg Filmtabletten; Stand: 03.09.2025

3. Bürokratiekostenermittlung

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

4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 11. Februar 2025 die zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt.

Am 26. Mai 2025 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 6 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Asciminib beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit Schreiben vom 28. Mai 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 Asciminib beauftragt.

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

Die mündliche Anhörung fand am 6. Oktober 2025 statt.

Mit Schreiben vom 7. Oktober 2025 wurde das IQWiG mit einer ergänzenden Bewertung beauftragt. Das vom IQWiG erstellte Addendum wurde dem G-BA am 31. Oktober 2025 übermittelt.

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. November 2025 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 20. November 2025 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	11. Februar 2025	Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie
AG § 35a	1. Oktober 2025	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	6. Oktober 2025	Durchführung der mündlichen Anhörung Beauftragung des IQWiG mit ergänzender Bewertung von Unterlagen
AG § 35a	15. Oktober 2025 5. November 2025	Beratung über die Dossierbewertung des IQWiG, Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	11. November 2025	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	20. November 2025	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 20. November 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken