

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Erteilung eines Auftrags an die Expertengruppe nach § 35c
Absatz 1 SGB V (Expertengruppe Off-Label): Eltrombopag bei
Aplastischer Anämie in der Erstlinientherapie

Vom 20. November 2025

Inhalt

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

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35c Absatz 1 SGB V beruft das Bundesministerium für Gesundheit für die Abgabe von Bewertungen zum Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis über die Anwendung von zugelassenen Arzneimitteln für Indikationen und Indikationsbereiche, für die sie nach dem Arzneimittelgesetz nicht zugelassen sind, Expertengruppen beim Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM), davon mindestens eine ständige Expertengruppe, die fachgebietsbezogen ergänzt werden kann.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) kann gemäß § 35c Abs. 1 Satz 4 SGB V die Expertengruppen mit Bewertungen nach Maßgabe der näheren Regelungen in seiner Verfahrensordnung beauftragen.

Die Bewertungen werden dem G-BA als Empfehlung zur Beschlussfassung nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 zugeleitet.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Aufgrund eines Vorschlags der Patientenvertretung im G-BA wird die Expertengruppe Off-Label mit der Bewertung zum Stand der wissenschaftlichen Erkenntnisse über die Anwendung von

Eltrombopag bei Aplastischer Anämie in der Erstlinientherapie

beauftragt.

Bei der Auswahl dieses Vorschlags als Bewertungsauftrag wurde insbesondere auf folgende Studien Bezug genommen:

- Peffault de Latour R, Kulasekararaj A, Iacobelli S, Terwel SR, Cook R, Griffin M, et al. Eltrombopag added to immunosuppression in severe aplastic anemia. N Engl J Med 2022;386(1):11-23
- Goronkova O, Novichkova G, Salimova T, Kalinina I, Baidildina D, Petrova U, et al. Efficacy of combined immunosuppression with or without eltrombopag in children with newly diagnosed aplastic anemia. Blood Adv 2023;7(6):953-962.
- Scheinberg P, Finelli C, Montaña-Figueroa EH, Vallejo C, Norasetthada L, Calado RT et al. Activity and safety of eltrombopag in combination with cyclosporin A as first-line treatment of adults with severe aplastic anaemia (SOAR): a phase 2, single-arm study. Lancet Haematol. 2024 Mar;11(3): e206-e215.

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**

Mit der Vorbereitung seiner Beschlüsse hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt.

Nach den Vorgaben des § 46 des 4. Kapitels der Verfahrensordnung des G-BA sind derzeit keine Gründe ersichtlich, die gegen eine Beauftragung der Expertengruppe Off-Label mit der Bewertung sprechen. Dem G-BA liegen keine Informationen vor, dass für die zu bewertenden Arzneimittel zum Zeitpunkt der Beauftragung eine Zulassung bzw. eine Änderung bestehender Zulassungen mit Bezug zum beauftragten Indikationsgebiet bereits beantragt ist.

In der Sitzung des Unterausschusses Arzneimittel am 7. Oktober 2025 wurde die Erteilung des Auftrags an die Expertengruppe Off-Label konsentiert.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG Off-Label-Use	8. Januar 2025 12. Februar 2025	Beratung des Vorschlags zur Beauftragung der Expertengruppe Off-Label
UA Arzneimittel	11. März 2025	Beratung und Konsentierung einer Anfrage an das BfArM nach 4. Kapitel, § 46 Verfo
Antwortschreiben des BfArM vom 7. August 2025		
AG Off-Label-Use	10. September 2025	Beratung über das Antwortschreiben des BfArM
UA Arzneimittel	7. Oktober 2025	Beratung und Konsentierung der Beauftragung der Expertengruppe Off-Label
Plenum	20. November 2025	Beschlussfassung über die Erteilung des Auftrags an die Expertengruppe Off-Label

Berlin, den 20. November 2025

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken