

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) und

Anlage XIIa – Kombinationen von Arzneimitteln mit neuen
Wirkstoffen nach § 35a SGB V

Givinostat (Duchenne-Muskeldystrophie, ≥ 6 Jahre,
Kombination mit einem Corticosteroid)

Vom 22. Januar 2026

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung	3
2.1	Zusatznutzen des Arzneimittels	4
2.1.1	Zugelassenes Anwendungsgebiet von Givinostat (Duvyzat) gemäß Fachinformation	4
2.1.2	Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise	4
2.1.3	Befristung und Geltungsdauer des Beschlusses.....	12
2.1.4	Kurzfassung der Bewertung	12
2.2	Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	13
2.3	Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	13
2.4	Therapiekosten	14
2.5	Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können	17
2.6	Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V	20
3.	Bürokratiekostenermittlung	21
4.	Verfahrensablauf	21

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

Maßgeblicher Zeitpunkt für den Beginn des Nutzenbewertungsverfahrens ist gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Givinostat am 15. Juli 2025 gewesen. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 VerfO am 14. Juli 2025 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht.

Givinostat zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie ab 6 Jahren in Kombination mit einem Corticosteroid 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. Halbsatz 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 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 15. Oktober 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 G25-22) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen, sowie des vom G-BA erstellten Amendments zur Nutzenbewertung 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 Methoden¹ wurde in der Nutzenbewertung von Givinostat nicht abgestellt.

¹ Allgemeine Methoden, Version 8.0 vom 19.12.2025. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Köln.

2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Givinostat (Duvyzat) gemäß Fachinformation

Duvyzat wird zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung angewendet.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 22. Januar 2026):

Siehe zugelassenes Anwendungsgebiet

2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Givinostat zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung wie folgt bewertet:

Für gehfähige Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) liegt ein Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen vor, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Begründung:

Für die Nutzenbewertung legt der pharmazeutische Unternehmer Daten der pivotalen Phase-III-Studie EPIDYS vor.

Bei der Studie EPIDYS handelt es sich um eine randomisierte, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Phase-III-Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Givinostat. An der Studie konnten gehfähige, männliche Patienten mit DMD im Alter von ≥ 6 Jahren teilnehmen, die bereits seit ≥ 6 Monaten eine systemische Corticosteroid-Therapie erhielten. Es wurden nur Patienten bis 16 Jahre eingeschlossen. Die Randomisierung erfolgte im Verhältnis 2:1 in die Behandlungsarme Givinostat und Placebo, stratifiziert nach den eingesetzten Glukokortikoiden. Givinostat wurde dabei in Kombination mit den Glukokortikoiden Deflazacort und Prednison eingesetzt, diese sind im Anwendungsgebiet nicht zugelassen. Die Dosierung von Givinostat war abhängig vom Körpergewicht. In der Studie EPIDYS wurde im Studienverlauf die Dosierung (sowohl die Startdosis als auch Dosismodifikationen) aufgrund von UE angepasst. Im Unterschied zur Fachinformation mit 4 Dosisstufen, wurde die Givinostat-Dosis in der Studie in 9 Dosierungsstufen abhängig vom Körpergewicht eingeteilt.

Die Studiendauer betrug 19 Monate und umfasste eine 4-wöchige Screening- und eine 18-monatige Behandlungsphase. Der primäre Endpunkt der Studie EPIDYS ist das Treppensteigen von 4 Stufen (4SC).

Die Studie wurde im Zeitraum Juni 2017 und Februar 2022 an Studienzentren in mehreren Ländern (Europa, Nordamerika und Israel) durchgeführt.

Die Ergebnisse der im Zulassungsverfahren supportiv betrachteten einarmigen Verlängerungsstudie 51, für die ein indirekter Vergleich mit historischen Studiendaten zum natürlichen Krankheitsverlauf präspezifiziert war, werden vom pharmazeutischen Unternehmer nicht für die Ableitung des Zusatznutzens herangezogen. Da die verfügbaren Informationen für den indirekten Vergleich insgesamt als unzureichend für eine Bewertung

der Validität erachtet werden, wird der indirekte Vergleich nicht für die Nutzenbewertung berücksichtigt.

Als relevante Patientenpopulation der Studie EPIDYS wird die Overall-Population (Givinostat (N = 118) und Placebo (N = 61)) für die vorliegende Nutzenbewertung herangezogen. Diese setzt sich aus zwei Teilpopulation zusammen: der On-Target-Population (Muskelfettanteil im M. vastus lateralis > 5 % bis ≤ 30 %; Givinostat: N = 81, Placebo: N = 39), die gemäß der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers die primäre Auswertungspopulation für die Wirksamkeitsendpunkte darstellte, und der Off-Target-Population (Muskelfettanteil im M. vastus lateralis ≤ 5 % und > 30 %; Givinostat: N = 37, Placebo: N = 22).

Der pharmazeutische Unternehmer hat im Dossier für die Ergebnisse der Overall-Population ANCOVA-Analysen anhand imputierter Daten (primäre Analyse) und MMRM-Analysen anhand beobachteter Werte (ohne Ersetzung fehlender Werte) durchgeführt. Analog der Einschätzung der EMA wird das beschriebene Vorgehen zum Umgang mit fehlenden Werten bei der ANCOVA-Analyse kritisch gesehen. Für die Nutzenbewertung werden daher die MMRM-Analysen herangezogen.

Auf Basis der Angaben im Dossier bestanden zudem Unsicherheiten bezüglich der Operationalisierung der Visite zum Studienende (Woche 72 (Monat 18) / (End-of-Study (EOS))). Zu Woche 72 wurde das Visitenzeitfenster aufgrund der COVID-19 Pandemie von ursprünglich ±7 Tage auf zusätzlich ±2 Monate erweitert. Unklar blieb, ob und wie viele Patienten, die außerhalb des prädefinierten Zeitfensters ±7 Tage bzw. außerhalb des erweiterten Zeitfensters erfasst wurden, in die Analyse eingingen und inwieweit vorzeitige Studienabbrecher berücksichtigt wurden. Gemäß der im Stellungnahmeverfahren nachgereichten Information des pharmazeutischen Unternehmers wurden Personen, die vorzeitig die Studie abgebrochen haben, in den Analysen zu Woche 72 nicht berücksichtigt. Die meisten Patienten kamen in beiden Armen (ca. 85 %) innerhalb des Zeitfensters Woche 72 ± 7 Tage + 14,5/15 Tage ins Studienzentrum, ähnlich wie zur Visite zu Woche 60 (Erweiterung des Visitenzeitfenster von ±7 Tage auf zusätzliche 14 Tage). Der Anteil an Personen, die nach dem erweiterten Visitenzeitfenster von 2 Monaten an der Studienvisite zu Woche 72 teilnahmen, war in beiden Behandlungsgruppen gering und in vergleichbarem Ausmaß (Givinostat: n = 6 (5,1 %); Placebo: n = 4 (6,6 %)). Für die vorliegende Nutzenbewertung werden daher die MMRM-Analysen der Overall-Population für alle bewertungsrelevanten Endpunkte zu der Studienvisite Woche 72 / EOS als geeignet angesehen.

Mortalität

In der Studie EPIDYS traten im Studienverlauf keine Todesfälle auf.

Morbidität

Treppensteigen von 4 Stufen (4SC)

Der Endpunkt „Treppensteigen von 4 Stufen“ (4SC) misst die Zeit, die der Patient benötigt, um vier Treppenstufen zu steigen. Der Endpunkt wird im vorliegenden Anwendungsgebiet als patientenrelevant angesehen.

Auf Basis der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers im Dossier bestanden Limitationen bei der statistischen Auswertung des Endpunktes, u.a. aufgrund fehlender Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Gründen. Fehlende Werte wurden innerhalb der Studie in Klasse 1 (andere Gründe als körperliche Einschränkungen bzw. Gehunfähigkeit;

COVID-19) und Klasse 2 (Gehunfähigkeit, körperliche Einschränkungen) differenziert. Die zugrundeliegende Annahme, dass fehlende Werte zufällig fehlen („Missing at Random“ (MAR)), erscheint bei fehlenden Werten der Klasse 2 jedoch als nicht zutreffend. Darüber hinaus bestanden Unklarheiten in der Operationalisierung der Visitenzeitfenster zur letzten Studienvsiste zu Woche 72.

Im Stellungnahmeverfahren hat der pharmazeutische Unternehmer Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Klasse 1 und 2, sowie Sensitivitätsanalysen mittels MMRM nachgereicht, bei der lediglich Patienten berücksichtigt wurden, die innerhalb des engeren prädefinierten Visitenzeitfensters ± 7 Tage zu Woche 72 erschienen waren.

Für die Endpunkte 4SC, 10-MWT und 6-MWT wurden mehrheitlich fehlende Werte der Klasse 1 (andere Gründe, COVID-19: Givinostat: 11 – 14 %; Placebo: 7 – 8 %) angegeben. Der Anteil fehlender Werte der Klasse 2 (Gehunfähigkeit, körperliche Einschränkungen) war mit ≤ 5 % gering. Eine Differenzierung der Gründe für fehlende Werte bei der Klasse 1-Kategorie „Andere“ liegt nicht vor, so dass unklar bleibt, inwiefern diese zufällig fehlen.

Für den Endpunkt 4SC liegt für die Woche 72 ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zugunsten von Givinostat vor.

Der Unterschied zwischen den Behandlungsarmen ist gering und die obere Grenze des 95%-Konfidenzintervalls erscheint mit -0,15 Sekunden zu gering, um den beobachteten Effekt als klinisch relevant einzustufen. Diese Einschätzung wird gestützt durch die unsichere Robustheit der Ergebnisse: Bei der Sensitivitätsanalyse mittels MMRM unter Berücksichtigung der Patienten, die innerhalb des Visitenzeitfensters ± 7 Tage an der Visite teilnahmen, wurde zur Studienvsiste Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied (LS means Differenz: -0,17 (95% KI [-0,82; 0,47]), p-Wert: 0,60) beobachtet, zu berücksichtigen ist dabei eine geringe Rücklaufquote zu Woche 72 (< 70 %).

Aufstehen aus der Rückenlage (Rise From The Floor, RFTF)

Bei dem Endpunkt „Aufstehen aus der Rückenlage“ wird die Zeit (in Sekunden) gemessen, die ein Patient mit Duchenne-Muskeldystrophie benötigt, um aus der Rückenlage am Boden bis in den aufrechten Stand zu gelangen. Der Test wurde im Rahmen des „North Star Ambulatory Assessment“ (NSAA) durchgeführt (Item 12). Der Endpunkt wird im vorliegenden Anwendungsgebiet als patientenrelevant angesehen.

Auf Basis der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers im Dossier bestanden Limitationen bei der statistischen Auswertung des Endpunktes, u.a. aufgrund fehlender Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Gründen (*siehe Ausführung beim Endpunkt 4SC*). Im Stellungnahmeverfahren hat der pharmazeutische Unternehmer Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Klasse 1 und 2, sowie Sensitivitätsanalysen mittels MMRM mit dem prädefinierten Analysezeitfenster (± 7 Tage) nachgereicht. Der Gesamtanteil fehlender Werte in beiden Behandlungsgruppen liegt für den Endpunkt RFTF bei ca. 28 %, wobei der überwiegende Anteil aus fehlenden Werten der Klasse 2 (Gehunfähigkeit, körperliche Einschränkungen) besteht (Givinostat: 16 %; Placebo: 23 %).

Für den Endpunkt RFTF liegt für die Woche 72 ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zugunsten von Givinostat vor.

Der Unterschied zwischen den Behandlungsarmen ist gering und die obere Grenze des 95%-Konfidenzintervalls erscheint mit -0,16 Sekunden zu gering, um den beobachteten Effekt als klinisch relevant einzustufen. Diese Einschätzung wird gestützt durch die unsichere Robustheit der Ergebnisse: Bei der Sensitivitätsanalyse mittels MMRM (ohne Imputation) unter Berücksichtigung der Patienten, die innerhalb des Visitenzeitfensters ± 7 Tage an der Visite

teilnahmen, wurde zur Studienvsiste Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied beobachtet (LS means: -0,77 (95% KI: [-1,95; 0,42], p-Wert: 0,20), zu berücksichtigen ist dabei eine geringe Rücklaufquote zu Woche 72 (< 70 %).

10-Meter-Geh-/Lauftest (10-MWT)

Der Endpunkt „10-Meter Walk/Run Test“ (10-MWT) misst die Zeit, die ein Patient benötigt, um 10 Meter zu gehen oder zu laufen. Der Test wurde im Rahmen des NSAA durchgeführt (Item 17). Der Endpunkt wird im vorliegenden Anwendungsgebiet als patientenrelevant angesehen.

Auf Basis der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers im Dossier bestanden Limitationen bei der statistischen Auswertung des Endpunktes, u.a. aufgrund fehlender Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Gründen. Im Stellungnahmeverfahren hat der pharmazeutische Unternehmer Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Klasse 1 und 2, sowie Sensitivitätsanalysen mittels MMRM mit dem prädefinierten Analysezeitfenster (± 7 Tage) nachgereicht (*siehe Ausführung beim Endpunkt 4SC*).

Für den Endpunkt 10-MWT liegt für die Woche 72 ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zugunsten von Givinostat vor.

Der Unterschied zwischen den Behandlungsarmen ist gering und die obere Grenze des 95%-Konfidenzintervalls erscheint mit -0,1 Sekunden zu gering, um den beobachteten Effekt als klinisch relevant einzustufen. Diese Einschätzung wird gestützt durch die unsichere Robustheit der Ergebnisse: Bei der Sensitivitätsanalyse mittels MMRM ohne Imputation unter Berücksichtigung der Patienten, die innerhalb des Visitenzeitfensters ± 7 Tage an der Visite teilnahmen, wurde zur Studienvsiste Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied beobachtet (LS means: -0,26 (95% KI [-0,77; 0,25]), p-Wert: 0,32), zu berücksichtigen ist dabei eine geringe Rücklaufquote zu Woche 72 (< 70 %).

6-Minuten-Gehtest (6-MWT)

Der 6-Minuten-Gehtest (6-Minute Walk Test: 6-MWT) dient der Untersuchung der körperlichen Funktion und erfasst die Distanz, die ein Patient innerhalb von 6 Minuten gehen kann. Der Endpunkt wird im vorliegenden Anwendungsgebiet als patientenrelevant angesehen.

Auf Basis der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers im Dossier bestanden Limitationen bei der statistischen Auswertung des Endpunktes, u.a. aufgrund fehlender Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Gründen. Im Stellungnahmeverfahren hat der pharmazeutische Unternehmer Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Klasse 1 und 2, sowie Sensitivitätsanalysen mittels MMRM mit dem prädefinierten Analysezeitfenster (± 7 Tage) nachgereicht (*siehe Ausführung beim Endpunkt 4SC*).

Für den Endpunkt 6-MWT liegt für die Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen vor.

Bestätigter Verlust der Aufstehfähigkeit

Der Beginn des Endpunktes wurde in der Studie definiert als Zeitpunkt der ersten Visite, bei der ein Verlust der Aufstehfähigkeit beobachtet wurde. Ein bestätigter Verlust der Aufstehfähigkeit lag vor, wenn der Patient bei mindestens 2 aufeinanderfolgenden Visiten (frühestens nach 6 Monaten) nicht in der Lage war, aufzustehen. Für den Verlust der Aufstehfähigkeit mussten bei den Visiten folgende Scores vorliegen: RFTF-Grad 1 und NSAA-Score (Item 12) „0“ (bzw. „Ob“ = Nicht in der Lage den Test aufgrund körperlicher Einschränkungen durchzuführen).

Für den Endpunkt Verlust der Aufstehfähigkeit wurden Überlebenszeitanalysen anhand imputierter Daten der Overall-Population vorgelegt. Sofern ein Ereignis nicht zutraf, wurde zum letzten Erhebungszeitpunkt, d.h. zu Woche 72 / EOS zensiert. Da die gewählte Imputationsstrategie Limitationen aufweist, wird der Endpunkt „Bestätigter Verlust der Aufstehfähigkeit“ nur ergänzend im Beschluss dargestellt und nicht für die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens berücksichtigt.

Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel

Der Endpunkt „Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel“ wurde in der Studie als vorliegend gewertet, wenn zu einer Visite zu einem beliebigen Studienzeitpunkt vor oder zu Studienende (letzte Studienvisite zu Monat 18 / Woche 72 bzw. End of Study (EOS)-Visite) folgende Kriterien erfüllt waren: Der Patient war aufgrund körperlicher Einschränkungen nicht in der Lage, den 6-MWT durchzuführen und der Patient war nicht in der Lage, den 10-MWT in ≤ 30 Sekunden ohne Unterstützung oder Hilfsmittel zu absolvieren ($10\text{-MWT} \leq \text{Grad } 2$).

Die Kriterien mussten bei allen darauffolgenden Visiten bis Studienende zu Monat 18 oder EOS vorliegen. Der Endpunkt wird im vorliegenden Anwendungsgebiet als patientenrelevant angesehen.

Es wurden post hoc durchgeführte Analysen anhand imputierter Daten der Overall-Population vorgelegt. Da die gewählte Imputationsstrategie Limitationen aufweist, wird der Endpunkt „Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel“ nur ergänzend im Beschluss dargestellt und nicht für die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens berücksichtigt.

Funktionelle Leistungsfähigkeit (NSAA)

Die funktionelle Leistungsfähigkeit wurde anhand der klinischen Bewertungsskala „North Star Ambulatory Assessment“ (NSAA) durch eine in der Erhebung des Endpunkts geschulte Person erhoben, die die Gehfähigkeit männlicher Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie beurteilt. Einschränkungen der funktionalen Leistungsfähigkeit, insbesondere des Gehvermögens, werden als patientenrelevant angesehen.

Auf Basis der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers im Dossier bestanden für den Endpunkt NSAA Limitationen in den Angaben zur Reliabilität, Validität und Änderungssensitivität (Ordinalskala). Im schriftlichen Stellungnahmeverfahren hat der pharmazeutische Unternehmer u.a. weitere Publikationen zur Reliabilität, Validität und Änderungssensitivität des NSAA eingereicht. Nach erneuter Prüfung wird der Endpunkt als insgesamt weitestgehend valide angesehen. Einschränkung ist eine für einzelne Items bestehende Heterogenität in der Test-Retest-Reliabilität.

Der RFTF (Item 12) und 10-MWT (Item 17) wurden im Rahmen des NSAA erhoben. Es wird jedoch nicht von einer Doppelerfassung ausgegangen, da im Rahmen des NSAA die Art der Durchführung beurteilt wird, während bei den separat dargestellten Endpunkten RFTF und 10-MWT die benötigte Zeit erfasst und ausgewertet wurde. Der NSAA liefert somit Informationen zur grundsätzlichen Fähigkeit und zum Grad der Selbstständigkeit der Patienten. Da die Auswertung der Ordinalskala des NSAA präspezifiziert war, wird diese dargestellt.

Der pharmazeutische Unternehmer hat für die Ordinalskala des NSAA post-hoc durchgeführte MMRM-Analysen des Gesamtscores für alle Visiten, sowie Responderanalysen zu Woche 72 für eine Verbesserung bzw. Verschlechterung um mindestens 15 % (Responseschwelle: 5,1 Punkte) eingereicht. Die Responderanalysen wurden nach Alter zu Studienbeginn und den

Stratifizierungsfaktoren adjustiert, für den Gesamtscore wurden fehlende Werte als Non-Responder imputiert.

Aufgrund der vorliegend progredienten Erkrankung werden Responderanalysen für eine Verschlechterung präferiert. Die vorgelegten Responderanalysen für eine Verschlechterung um $\geq 15\%$ zu Woche 72 werden jedoch als nicht geeignet angesehen, da fehlende Werte als Non-Responder (und somit als „keine Verschlechterung“) gewertet wurden. Daher werden die MMRM-Analysen zum Gesamtscore der Ordinalskala für die Nutzenbewertung bevorzugt.

Auf Grund von Limitationen im Umgang mit fehlenden Werten zur Bildung des Gesamtscores werden die MMRM-Analysen jedoch lediglich ergänzend im Beschluss dargestellt und nicht für die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens berücksichtigt. Des Weiteren bleibt unklar, wie fehlende Werte nach Bildung des Gesamtscores zu Stande kamen und ob diese beispielsweise durch einen frühzeitigen Studienabbruch bedingt sind.

Körperliche Funktionsfähigkeit (PODCI)

Das „Pediatric Outcomes Data Collection Instrument“ (PODCI) ist ein Instrument zur Bewertung der allgemeinen Gesundheit, der Schmerzen und der Fähigkeit, an Alltagsaktivitäten sowie lebhaften Aktivitäten teilzunehmen. Der Endpunkt wird vorliegend als patientenrelevanter Endpunkt angesehen.

Die vorliegende Operationalisierung kann jedoch nur bedingt nachvollzogen werden: Die Erhebung der beiden eingesetzten Fragebogenversionen (selbstberichtete Version für Patienten und fremdberichtete Version für Erziehungsberechtigte) ist über den Studienverlauf nicht einheitlich erfolgt. Zudem werden die im Anschluss post hoc durchgeführten Anpassungen der Auswertung des Fragebogens (Nicht-Berücksichtigung und Imputation der erhobenen Daten für Patienten ≤ 10 Jahre mit beantworteter Fragebogenversion > 10 Jahre) kritisch gesehen. Darüber hinaus liegen nur limitierte Daten zu den psychometrischen Eigenschaften beider Fragebogenversionen und zu deren Vergleichbarkeit vor. Der Endpunkt „Körperliche Funktionsfähigkeit (PODCI)“ wird in der Nutzenbewertung daher aufgrund unzureichender Operationalisierung und unklarer Validität nicht berücksichtigt.

Lebensqualität

Es wurden keine Daten zur Lebensqualität erhoben.

Nebenwirkungen

In der Studie EPIDYS traten bei ca. 95 % der Personen unerwünschte Ereignisse (UE) auf. Bei den Endpunkten schwere UE, schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE) und UE, die zum Abbruch der Studienmedikation führten, zeigen sich jeweils keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen den Behandlungsgruppen.

Körpergröße, Körpergewicht, Body-Mass-Index (BMI)

Anthropometrische Parameter wurden in der Studie als Sicherheitsendpunkte erhoben. Aufgrund der empfohlenen Langzeiteinnahme von Glukokortikoiden wird die Entwicklung der Patienten eingeschränkt. Die Gabe von Glukokortikoiden kann u.a. zu einer starken

Gewichtszunahme und einer Wachstumsverzögerung bzw. -stillstand führen². Die Endpunkte Körpergröße und Körpergewicht werden in der vorliegenden Indikation entsprechend als patientenrelevant angesehen. Angaben, die für das Alter und Geschlecht adjustiert wurden (z-Scores), werden gegenüber absoluten Werten bevorzugt.

Bei dem Endpunkt BMI handelt es sich um einen aus den Endpunkten Körpergröße und Körpergewicht zusammengesetzten Endpunkt, die beide in der Nutzenbewertung dargestellt werden. Der Endpunkt BMI wird daher in der Nutzenbewertung nicht zusätzlich berücksichtigt.

Im Zuge des schriftlichen Stellungnahmeverfahrens hat der pharmazeutische Unternehmer post-hoc durchgeführte Analysen für die Endpunkte Körpergröße und Körpergewicht (z-Scores), sowie Informationen zur Erhebung des Körpergewichts nachgereicht. Die z-Scores spiegeln die Anzahl der Standardabweichungen (SD) eines Wertes von den nach Alter und Geschlecht standardisierten normalen Durchschnittswerten wider. Für die Berechnung der z-Scores wurden die Referenztabellen des Centers for Disease Control and Prevention (CDC) herangezogen.

Für die Endpunkte Körpergröße (z-Scores) und Körpergewicht (z-Scores) wurden keine Angaben zu fehlenden Werten differenziert nach Klasse 1 und 2 eingereicht, da eine Dokumentation der Gründe für fehlende Werte für die Studie nicht vorgesehen war. Da der Anteil fehlender Werte jedoch gering war (beide Behandlungsgruppen: Körpergewicht: ca. 5 % und Körpergröße: 5 – 8 %), werden die Endpunkte in der Nutzenbewertung berücksichtigt.

Für den Endpunkt Körpergröße liegt für die Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen vor.

Für den Endpunkt Körpergewicht liegt für Woche 72 ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zugunsten von Givinostat vor. Der beobachtete statistisch signifikante Effekt zum Körpergewicht (z-Scores) wird jedoch nicht als klinisch relevant eingeschätzt: Zu Baseline ist die Körpergröße im Vergleich zur Referenzpopulation deutlich geringer (Givinostat: -1,84 vs. Placebo: -1,78), zu Studienende sind in beiden Armen Aufholeffekte zu beobachten (Givinostat: 0,63 vs. Placebo: 0,71). Im Vergleich zur Körpergröße ist die Veränderung des Körpergewichts (z-Score) im Placebo-Arm mit einer numerischen Zunahme um 0,73 sehr nahe an der numerischen Zunahme der Körpergröße (z-Score), anders als die Veränderung im Givinostat-Arm, wo die Zunahme mit 0,49 etwas geringer ausfällt. Zusammenfassend scheint die Gewichtszunahme im Vergleich zur Referenzpopulation in beiden Armen maßgeblich durch die Aufholeffekte im Wachstum bedingt zu sein.

Gesamtbewertung

Für die Bewertung des Zusatznutzens werden die Ergebnisse der pivotalen, randomisierten, doppelblinden, Placebo-kontrollierten Phase-III-Studie EPIDYS herangezogen. Die Ergebnisse des indirekten Vergleichs der einarmigen Verlängerungsstudie 51 mit historischen Studiendaten zum natürlichen Krankheitsverlauf werden für die Nutzenbewertung aufgrund unzureichender Informationen für eine Bewertung der Validität nicht berücksichtigt. Für die Studie EPIDYS liegen Daten zum Gesamtüberleben, zur Morbidität und zu den Nebenwirkungen vor.

In der Studie EPIDYS traten im Studienverlauf keine Todesfälle auf.

² Biggar WD, Skalsky A, McDonald CM.: Comparing Deflazacort and Prednisone in Duchenne Muscular Dystrophy. J Neuromuscul Dis. 2022;9(4)

In der Kategorie Morbidität liegt für die Endpunkte 4SC, RFTF und 10-MWT für Woche 72 jeweils ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zugunsten von Givinostat vor. Aufgrund des geringen Unterschieds zwischen den Behandlungsarmen, einer jeweils geringen oberen Grenze des 95%-Konfidenzintervalls und einer unsicheren Robustheit der Ergebnisse werden die beobachteten Effekte jedoch nicht als klinisch relevant eingestuft. Daher lassen sich anhand dieser Ergebnisse keine Aussagen zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

Für den Endpunkt 6-MWT zeigt sich zu Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Auf Grund von Limitationen bei der gewählten Imputationsstrategie bzw. aufgrund von Limitationen im Umgang mit fehlenden Werten werden die Endpunkte Bestätigter Verlust der Aufstehfähigkeit, Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel und Funktionelle Leistungsfähigkeit (NSAA) nur ergänzend im Beschluss dargestellt und nicht für die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens berücksichtigt. Der Endpunkt Körperliche Funktionsfähigkeit (PODCI) wird in der Nutzenbewertung aufgrund unzureichender Operationalisierung und unklarer Validität nicht berücksichtigt.

Für die Endpunktkategorie der Lebensqualität wurden keine Daten erhoben.

In der Kategorie Nebenwirkungen zeigt sich bei den schweren unerwünschten Ereignissen (UE), den schwerwiegenden UE und den UE, die zum Abbruch der Studienmedikation führten, jeweils kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen.

Die als Sicherheitsendpunkte erhobenen anthropometrischen Parameter Körpergröße und Körpergewicht (jeweils z-Scores) werden in der vorliegenden Indikation als patientenrelevant angesehen und für die Nutzenbewertung berücksichtigt. Für den Endpunkt Körpergröße liegt für die Woche 72 kein statistisch signifikanter Unterschied vor, für den Endpunkt Körpergewicht zeigt sich ein statistisch signifikanter Unterschied zugunsten von Givinostat. Der beobachtete statistisch signifikante Effekt wird jedoch nicht als klinisch relevant eingeschätzt. Daher lässt sich anhand dieses Ergebnisses keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

Zusammenfassend liegt für Givinostat zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ein nicht quantifizierbarer Zusatznutzen vor, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Aussagekraft der Nachweise

Das Verzerrungspotential auf Studienebene wird als unklar eingeschätzt.

Für die Endpunkte Treppensteigen von 4 Stufen (4SC), Aufstehen aus der Rückenlage (RFTF), 10-Meter-Geh-/Laufstest (10-MWT), 6-Minuten-Gehtest (6-MWT) und NSAA wird von einem hohen Verzerrungspotential ausgegangen. Bei diesen Endpunkten bestehen z.T. bezüglich der fehlenden Werte Unsicherheiten (zufälliges Fehlen bei Klasse 1-Kategorie „Andere“ unklar, überwiegender Anteil an fehlenden Werten der Klasse 2 bzw. Unsicherheiten aufgrund eines unterschiedlichen Vorgehens im Umgang mit fehlenden Werten), z.T. zeigen die Sensitivitätsanalysen jeweils keinen statistisch signifikanten Unterschied.

Für die Endpunkte Körpergröße (z-Scores) und Körpergewicht (z-Scores) wird aufgrund der geringen Anzahl an fehlenden Werten das Verzerrungspotential als niedrig angesehen.

Insgesamt wird von einem Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen ausgegangen.

2.1.3 Befristung und Geltungsdauer des Beschlusses

Die Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses zur Nutzenbewertung von Givinostat findet ihre Rechtsgrundlage in § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V. Danach kann der G-BA die Geltung des Beschlusses über die Nutzenbewertung eines Arzneimittels befristen. Vorliegend ist die Befristung durch mit dem Sinn und Zweck der Nutzenbewertung nach § 35a Absatz 1 SGB V in Einklang stehende sachliche Gründe gerechtfertigt.

Die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) hat den pharmazeutischen Unternehmer als Auflage für die bedingte Zulassung von Givinostat verpflichtet, eine weitere randomisierte, doppelblinde, placebokontrollierte Studie bei gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie durchzuführen, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Givinostat bei der Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung zu bestätigen. Die Ergebnisse dieser Studie sind der EMA bis zum 31. Juli 2033 vorzulegen. Da diese Daten für die Bewertung des Zusatznutzens von Givinostat relevant sein können, ist es gerechtfertigt, den Beschluss zeitlich zu befristen. Die Befristung ermöglicht eine Einbeziehung der erwarteten Ergebnisse aus der RCT Studie in die Nutzenbewertung des Arzneimittels nach § 35a SGB V. Hierfür wird eine Befristung der Gültigkeit des Beschlusses bis zum 1. Februar 2034 als angemessen erachtet.

Auflagen der Befristung:

Für die erneute Nutzenbewertung nach Fristablauf sollen im Dossier die für Juli 2033 erwarteten Studienergebnisse der seitens der EMA geforderten, randomisierten, doppelblinden, placebokontrollierten Studie mit Givinostat bei gehfähigen Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie vorgelegt werden. Eine Abänderung der Frist kann grundsätzlich gewährt werden, sofern begründet und nachvollziehbar dargelegt wird, dass der Zeitraum der Befristung nicht ausreichend oder zu lang ist.

Gemäß § 3 Absatz 1 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 1 Absatz 2 Nr. 7 Verfo beginnt das Verfahren der Nutzenbewertung für das Arzneimittel mit dem Wirkstoff Givinostat erneut, wenn die Frist abgelaufen ist. Hierzu hat der pharmazeutische Unternehmer spätestens am Tag des Fristablaufs beim G-BA ein Dossier zum Nachweis des Ausmaßes des Zusatznutzens von Givinostat vorzulegen (§ 4 Absatz 3 Nr. 5 AM-NutzenV i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nr. 5 Verfo). Wird das Dossier nicht oder unvollständig eingereicht, kann der G-BA die Feststellung treffen, dass ein nicht quantifizierbarer Zusatznutzen vorliegt, weil die erforderlichen Nachweise nicht vollständig sind.

Die Möglichkeit, dass eine Nutzenbewertung für das Arzneimittel mit dem Wirkstoff Givinostat aus anderen Gründen (vgl. 5. Kapitel § 1 Absatz 2 Nr. 2 bis 6 oder Nr. 8 Verfo) zu einem früheren Zeitpunkt durchgeführt werden kann, bleibt hiervon unberührt.

2.1.4 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung des neuen Arzneimittels Duvyzat mit dem Wirkstoff Givinostat. Duvyzat wurde als Orphan Drug-Arzneimittel und unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Givinostat ist indiziert zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung. Für die Bewertung des Zusatznutzens werden die Ergebnisse der pivotalen, randomisierten, Placebo-kontrollierten Phase-III-Studie EPIDYS herangezogen. Die Ergebnisse des indirekten Vergleichs der einarmigen

Verlängerungsstudie 51 mit Studiendaten zum natürlichen Krankheitsverlauf werden für die Nutzenbewertung aufgrund unzureichender Informationen für eine Bewertung der Validität nicht berücksichtigt. In der Studie EPIDYS traten im Studienverlauf keine Todesfälle auf. In der Kategorie Morbidität liegt für die Endpunkte 4SC, RFTF und 10-MWT jeweils ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen zugunsten von Givinostat vor. Aufgrund des geringen Unterschieds zwischen den Behandlungsarmen, einer jeweils geringen oberen Grenze des 95%-Konfidenzintervalls und einer unsicheren Robustheit der Ergebnisse werden die Effekte jedoch nicht als klinisch relevant eingestuft. Für den Endpunkt 6-MWT zeigt sich kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen. Auf Grund von Limitationen bei der gewählten Imputationsstrategie bzw. aufgrund von Limitationen im Umgang mit fehlenden Werten werden die Endpunkte Bestätigter Verlust der Aufstehfähigkeit, Verlust der Gehfähigkeit ohne Hilfsmittel und Funktionelle Leistungsfähigkeit (NSAA) nur ergänzend im Beschluss dargestellt. Der Endpunkt Körperliche Funktionsfähigkeit (PODCI) wird in der Nutzenbewertung aufgrund unzureichender Operationalisierung und unklarer Validität nicht berücksichtigt. Für die Endpunktkategorie der Lebensqualität wurden keine Daten erhoben. In der Kategorie Nebenwirkungen zeigt sich bei den schweren UE, den SUE und den UE, die zum Abbruch der Studienmedikation führten, jeweils kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen. Für den Endpunkt Körpergröße liegt kein statistisch signifikanter Unterschied vor, für den Endpunkt Körpergewicht zeigt sich ein statistisch signifikanter Unterschied zugunsten von Givinostat, der jedoch nicht als klinisch relevant eingeschätzt wird. Das Verzerrungspotential auf Studienebene wird als unklar eingeschätzt. Für die Endpunkte Körpergröße und Körpergewicht wird das Verzerrungspotential als niedrig angesehen, für die weiteren Endpunkte wird von einem hohen Verzerrungspotential ausgegangen.

Zusammenfassend liegt für Givinostat zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ein Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen vor, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Der Beschluss ist bis zum 1. Februar 2034 befristet.

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

Bei den Angaben zur Anzahl der Patientinnen und Patienten handelt es sich um die Zielpopulation in der Gesetzlichen Krankenversicherung (GKV). Dem Beschluss werden die Angaben des pharmazeutischen Unternehmers zugrunde gelegt.

Unsicherheiten bestehen insbesondere aufgrund der Nichtberücksichtigung der Mortalität bei der Ermittlung der Prävalenz der Duchenne Muskeldystrophie. Insgesamt ist daher von einer Überschätzung auszugehen.

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 Duvyzat (Wirkstoff: Givinostat) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 22. September 2025):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Givinostat sollte durch in der Therapie von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die europäische Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 15. November 2025).

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

Generell bleiben initiale Induktionsschemata für die Kostendarstellung unberücksichtigt, da es sich bei der vorliegenden Indikation um eine chronische Erkrankung mit kontinuierlichem Therapiebedarf handelt und in der Regel nach initialer Titration keine erneute Titration bzw. Dosisanpassung erforderlich ist.

Der Wirkstoff Givinostat ist gemäß Fachinformation für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei gehfähigen Patienten ab 6 Jahren zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung zugelassen. Die empfohlene Dosis für Givinostat beruht auf dem Körpergewicht und wird zweimal täglich eingenommen. Als untere Grenze wurde die minimale Körpergewichts-Angabe (2,5 ml zweimal täglich bei einem Gewicht von 15 kg bis < 20 kg) der Fachinformation zugrunde gelegt, als obere Grenze die maximale Körpergewichts-Angabe (6 ml zweimal täglich bei einem Gewicht ab 60 kg). In der Fachinformation zu Givinostat liegen keine Angaben bezüglich der Dosierung und Art der Anwendung der Corticosteroid-Behandlung vor.

Als Corticosteroid-Behandlung kommt der Wirkstoff Vamorolon infrage, der zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen ist. Die empfohlene Dosis beträgt 6 mg Vamorolon pro Kilogramm Körpergewicht einmal täglich bei Patienten mit einem Körpergewicht bis zu 40 kg. Bei Patienten mit einem Körpergewicht über 40 kg beträgt die empfohlene Dosis 240 mg Vamorolon (entsprechend 6 ml) einmal täglich. Bei Dosierungen in Abhängigkeit von Körpergewicht (KG) wurden die durchschnittlichen Körpermaße aus der amtlichen Repräsentativstatistik des Mikrozensus³ 2017 bzw. 2021 zugrunde gelegt (durchschnittliches Körpergewicht eines sechsjährigen Jungen: 24,0 kg; durchschnittliches Körpergewicht eines männlichen Erwachsenen: 85,8 kg). Als untere Grenze wurde beim Verbrauch eine Dosierung von 6 mg/kg/Tag für einen sechsjährigen Jungen zugrunde gelegt, als obere Grenze eine Dosierung von 240 mg einmal täglich für einen männlichen Erwachsenen.

³ Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (2017 bzw. 2021; ab 1 Jahr bzw. ab 15 Jahren), www.gbe-bund.de

Alternativ zu Vamorolon können Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie gegebenenfalls mit weiteren Corticosteroiden wie Prednisolon/Prednison oder Deflazacort behandelt werden. Diese sind im Anwendungsgebiet nicht zugelassen und werden daher bei den Kosten nicht berücksichtigt.

Behandlungsdauer:

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.

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Givinostat	Kontinuierlich, 2x täglich	365,0	1	365,0
<i>Corticosteroid-Behandlung</i>				
Vamorolon	Kontinuierlich, 1 x täglich	365,0	1	365,0

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					
Givinostat	2,5 ml	2 x 2,5 ml	2 x 2,5 ml	365	365 x 5 ml
	6 ml	2 x 6 ml	2 x 6 ml	365	365 x 12 ml
<i>Corticosteroid-Behandlung</i>					
Vamorolon	144 mg = 3,6 ml	1 x 3,6 ml	1 x 3,6 ml	365,0	365 x 3,6 ml
	240 mg = 6 ml	1 x 6 ml	1 x 6 ml	365,0	365 x 6 ml

Kosten:

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

Kosten der Arzneimittel:

Gefähigte Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Bezeichnung der Therapie	Packungsgröße	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel					
Givinostat	140 ml SUE	19 738,05 €	1,77 €	1 126,65 €	18 609,63 €
<i>Corticosteroid-Behandlung</i>					
Vamorolon	100 ml SUE	4 485,49 €	1,77 €	252,88 €	4 230,84 €
Abkürzungen: SUE = Suspension zum Einnehmen					

Stand Lauer-Tab: 15. November 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.

Gemäß Fachinformation müssen vor Beginn der Behandlung mit Givinostat die Ausgangswerte der Thrombozyten und Triglyceride erhoben und beurteilt werden. Zudem sind die Thrombozytenzahlen (in den ersten zwei Behandlungsmonaten alle 2 Wochen, nach drei Monaten und danach alle 3 Monate) und Triglyceride (mindestens in Monat 3, Monat 6 und danach alle 6 Monate) zu kontrollieren.

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Leistung	Anzahl	Kosten pro Einheit	Kosten pro Patientin/ Patient pro Jahr
Givinostat	Thrombozytenzählung (EBM 32037)	1. Jahr: 9	0,25 €	1. Jahr: 2,25 €
		Folgejahre: 4		Folgejahre: 1,00 €
	Triglyceride (EBM 32063)	1. Jahr: 4	0,25 €	1. Jahr: 1,00 €
		Folgejahre: 2		Folgejahre: 0,50 €

2.5 Benennung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können

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

Grundlagen auf Seiten des bewerteten Arzneimittels

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

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

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

Reserveantibiotika muss daher, um Wertungswidersprüche zu vermeiden, auch auf der Ebene der Benennung nach § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V berücksichtigt werden.

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

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

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

- eine Wirkstoffklasse oder -gruppe genannt wird, aus welcher einzelne, nicht näher konkretisierte Wirkstoffe in Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel eingesetzt werden können oder
- keine Wirkstoffe, Wirkstoffklassen oder -gruppen genannt werden, jedoch das bewertete Arzneimittel zusätzlich zu einer, in der jeweiligen Fachinformation näher beschriebenen therapeutischen Anwendung, für die jedoch keine Angaben zu Wirkstoffen im Rahmen dieser therapeutischen Anwendung aus der Fachinformation hervorgehen, angewendet wird.

Kombinationspartner

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

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

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

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

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

angewendet wird, welche das bewertete Arzneimittel nicht umfasst, so ist eine Kombination mit dem bewerteten Arzneimittel ausgeschlossen.

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

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

Benennung

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

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

Ausnahme von der Benennung

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

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

Rechtswirkungen der Benennung

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

waren aufgrund des fehlenden Bewertungsauftrages des G-BA im Rahmen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V nicht Gegenstand der Prüfung.

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

Begründung für die Feststellungen zur Benennung im vorliegenden Beschluss:

Gefähigte Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Bei den benannten Arzneimitteln handelt es sich jeweils um einen Wirkstoff, der in Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel im Rahmen einer therapeutischen Anwendung eingesetzt werden kann, die in der Fachinformation für das bewertete Arzneimittel genannt wird. Bei dieser therapeutischen Anwendung handelt es sich laut den Angaben in der Fachinformation um die Anwendung zusammen mit einer Corticosteroid-Behandlung.

Für die benannten Arzneimittel sind die Voraussetzungen des § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V erfüllt und es liegen gemäß den Angaben in den Fachinformationen keine Ausschlussgründe vor, die einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Arzneimittel entgegenstehen.

Referenzen:

Fachinformation zu Givinostat (Duvyzat); Duvyzat 8,86 mg/ml Suspension zum Einnehmen; Stand: Juli 2025

Fachinformation zu Vamorolon (Agamree); AGAMREE® 40 mg/ml Suspension zum Einnehmen; Stand: Januar 2025

Ergänzung der Anlage XIIa der AM-RL

Da im Beschluss unter I.5 Arzneimittel mit neuen Wirkstoffen gem. § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V benannt werden, die in einer Kombinationstherapie mit dem bewerteten Wirkstoff im Anwendungsgebiet des Beschlusses eingesetzt werden können, sind die Angaben zu dieser Benennung in die Anlage XIIa der Arzneimittelrichtlinie einzufügen und mit einer patientengruppenbezogenen Angabe zur Geltungsdauer der Benennung zu versehen.

2.6 Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und -teilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V gemäß § 35a Absatz 3 Satz 5 SGB V

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

Basis für die Berechnung sind alle Studien, welche nach § 35a Absatz 1 Satz 3 SGB V i.V.m § 4 Absatz 6 AM-NutzenV als Teil des Nutzenbewertungsdossiers in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt werden.

Bezüglich der Zulassungsstudien werden alle Studien einbezogen, welche der Zulassungsbehörde in Abschnitt 2.7.3 (Summary of Clinical Efficacy) und 2.7.4 (Summary of Clinical Safety) des Zulassungsdossier in dem zur Zulassung beantragten Anwendungsgebiet übermittelt wurden. Darüber hinaus sind zusätzlich solche Studien anzugeben, die ganz oder teilweise innerhalb des in diesem Dokument beschriebenen Anwendungsgebiets durchgeführt wurden und bei denen der Unternehmer Sponsor war oder auf andere Weise finanziell beteiligt ist.

Der Anteil der Prüfungsteilnehmer und -teilnehmerinnen an den vom pharmazeutischen Unternehmer durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, an der Gesamtzahl der Prüfungsteilnehmer und -teilnehmerinnen beträgt entsprechend der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers < 5 % (3,9 %).

Die klinischen Prüfungen des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet wurden somit nicht zu einem relevanten Anteil im Geltungsbereich des SGB V durchgeführt.

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 14. Juli 2025 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 VerFO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Givinostat beim G-BA eingereicht.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 15. Oktober 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 5. November 2025.

Die mündliche Anhörung fand am 24. November 2025 statt.

Ein Amendment zur Nutzenbewertung mit einer ergänzenden Bewertung von im Stellungnahmeverfahren vorgelegten Daten wurde am 12. Dezember 2025 vorgelegt.

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 13. Januar 2026 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 22. Januar 2026 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	7. Oktober 2025	Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA
AG § 35a	18. November 2025	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	24. November 2025	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	2. Dezember 2025 16. Dezember 2025	Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	13. Januar 2026	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	22. Januar 2026	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 22. Januar 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken