

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)

Iptacopan (Neubewertung eines Orphan Drugs nach
Überschreitung der 30 Millionen Euro-Grenze (Komplement-3-
Glomerulopathie))

Vom 4. Juni 2026

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 Iptacopan (Fabhalta) gemäß Fachinformation	3
2.1.2	Zweckmäßige Vergleichstherapie	4
2.1.3	Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens	7
2.1.4	Kurzfassung der Bewertung	10
2.2	Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	10
2.3	Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	11
2.4	Therapiekosten	11
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	14
3.	Bürokratiekostenermittlung	17
4.	Verfahrensablauf	17

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 Iptacopan (Fabhalta) wurde am 1. Juli 2024 erstmals in der Großen Deutschen Spezialitäten-Steuer (Lauer-Steuer) gelistet.

Am 31. März 2025 hat Iptacopan die Zulassung für ein neues Anwendungsgebiet erhalten, das als größere Änderung des Typs 2 nach Anhang 2 Nummer 2 Buchstabe a der Verordnung (EG) Nummer 1234/2008 der Kommission vom 24. November 2008 über die Prüfung von Änderungen der Zulassungen von Human- und Tierarzneimitteln (ABl. L 334 vom 12.12.2008, Satz 7) eingestuft wird.

Fabhalta zur Behandlung der Komplement-3-Glomerulopathie 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.

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 7. Juli 2025 aufgrund der Überschreitung der 30 Millionen Euro-Umsatzgrenze innerhalb des Zeitraums von Juli 2024 bis Juni 2025 zur Einreichung eines Dossiers zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V bis zum 15. Dezember 2025 aufgefordert.

In seiner Sitzung am 21. August 2025 hat der G-BA über die Einstellung des laufenden Nutzenbewertungsverfahrens nach § 35a Absatz 1 Satz 11 SGB V i.V.m. 5. Kapitel § 12 Nr. 1 VerfO von Iptacopan im Anwendungsgebiet „Komplement-3-Glomerulopathie“ beschlossen, da während des Verfahrens die Umsatzschwelle von 30 Millionen Euro überschritten wurde.

Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 4 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 6 VerfO am 12. Dezember 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 16. März 2026 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 Iptacopan gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie festgestellt werden kann, auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom IQWiG erstellten Dossierbewertung und der 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 Iptacopan 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 Iptacopan (Fabhalta) gemäß Fachinformation

FABHALTA wird angewendet zur Behandlung erwachsener Patienten mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitor oder bei Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 04.06.2026):

Siehe zugelassenes Anwendungsgebiet

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

2.1.2 Zweckmäßige Vergleichstherapie

Die zweckmäßige Vergleichstherapie wurde wie folgt bestimmt:

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Iptacopan, allein oder in Kombination mit Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitoren:

- Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden

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. Neben Iptacopan ist im vorliegenden Anwendungsgebiet Pegcetacoplan zugelassen. Allgemein für die Behandlung der chronischen Niereninsuffizienz sind Dapagliflozin und Empagliflozin zugelassen.
- zu 2. Eine nicht-medikamentöse Behandlung ist in dem Anwendungsgebiet nicht angezeigt. Es wird davon ausgegangen, dass bei Patientinnen und Patienten im geplanten Anwendungsgebiet eine Verlangsamung der Krankheitsprogression angestrebt wird, sodass eine Nierenersatztherapie in Form von Dialyse oder Transplantation für die Patientinnen und Patienten noch nicht umfasst ist.
- zu 3. Im hier zu betrachtenden Anwendungsgebiet liegen keine Beschlüsse des G-BA vor.
- 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.

Gemäß der S3-Leitlinie Glomerulonephritiden sollte zur Behandlung von mittelschwerer bis schwerer C3G neben einer supportiven nephroprotektiven Basistherapie eine immunsuppressive Therapie mit Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden eingesetzt werden. Die Empfehlung für die immunsuppressive Therapie basiert auf Evidenz aus retrospektiven Kohortenstudien^{2,3,4,5}. Weder der Wirkstoff Mycophenolatmofetil noch Kortikosteroide sind jedoch für die vorliegende Therapiesituation der C3G zugelassen. Dementsprechend stellt der Einsatz von Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden eine zulassungsüberschreitende Anwendung dar.

Darüber hinaus ist der Wirkstoff Pegcetacoplan zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3G oder primärer immunkomplexvermittelter membranproliferativer Glomerulonephritis (IC-MPGN) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Hemmer, es sei denn, die

² Rabasco C, Cavero T, Roman E, et al. Effectiveness of mycophenolate mofetil in C3 glomerulonephritis. *Kidney Int.* 2015;88:1153–1160

³ Avasare RS, Canetta PA, Bomback AS, et al. Mycophenolate mofetil in combination with steroids for treatment of C3 glomerulopathy: a case series. *Clin J Am Soc Nephrol.* 2018;13:406–413

⁴ Ravindran A, Fervenza FC, Smith RJH, et al. C3 glomerulopathy: ten years' experience at Mayo Clinic. *Mayo Clin Proc.* 2018;93:991–1008

⁵ Bomback AS, Santoriello D, Avasare RS, et al. C3 glomerulonephritis and dense deposit disease share a similar disease course in a large United States cohort of patients with C3 glomerulopathy. *Kidney Int.* 2018;93: 977–985.

Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert, zugelassen. Bei dem Wirkstoff Pegcetacoplan handelt es sich um eine neue Behandlungsoption im vorliegenden Anwendungsgebiet. Der Wirkstoff wurde erst vor Kurzem zugelassen (Zulassung am 15. Januar 2026).

Da der Beschluss des G-BA über die Nutzenbewertung nach § 35a SGB V für den zugelassenen Wirkstoff Pegcetacoplan in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet noch aussteht, fehlt es derzeit an einer tragfähigen Entscheidungsgrundlage, um eine strukturierte, evidenzbasierte Bewertung des neu zugelassenen Wirkstoffs auch im Verhältnis zu den im Anwendungsgebiet den Therapiestandard bildenden Wirkstoffen vornehmen zu können. Vor diesem Hintergrund konnte der Wirkstoff Pegcetacoplan in Bezug auf die gemäß § 6 Absatz 2 Satz 3 AM-NutzenV vorzunehmende Feststellung zum Therapiestandard im zu bewertenden Anwendungsgebiet noch keine Berücksichtigung finden.

Entsprechend des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse ist in der Gesamtschau festzustellen, dass die zulassungsüberschreitende Anwendung von Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden für Patientinnen und Patienten mit C3G als Therapiestandard gilt.

Für Patientinnen und Patienten mit C3G ist die zulassungsüberschreitende Anwendung von Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden somit dem zugelassenen Wirkstoff Pegcetacoplan regelhaft vorzuziehen (§ 6 Absatz 2 Satz 3 Nummer 2 AM-NutzenV). Daher ist es sachgerecht, den zulassungsüberschreitenden Einsatz von Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden als zweckmäßige Vergleichstherapie zu bestimmen.

In der Gesamtschau wird daher für Erwachsene mit C3G eine immunsuppressive Therapie mit Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden als zweckmäßig erachtet.

Supportive nephroprotektive Basistherapie

Gemäß der S3-Leitlinie sollen bei C3G ACE-Hemmer oder AT1-Antagonisten als supportive Basistherapie zur Nephroprotektion und zur Kontrolle des Blutdrucks eingesetzt werden. Es ist davon auszugehen, dass der überwiegende Anteil der Patientinnen und Patienten mit C3G eine Hypertonie aufweist. Für Patientinnen und Patienten, die weder eine Hypertonie noch einen Diabetes mellitus aufweisen, sind weder ACE-Hemmer noch AT1-Antagonisten zur Behandlung der Nierenerkrankung zugelassen. Dennoch wird gemäß der S3-Leitlinie für alle Patientinnen und Patienten mit einer Glomerulonephritis und Proteinurie eine starke Empfehlung für die Behandlung mit einem ACE-Hemmer oder AT1-Antagonisten ausgesprochen.

Dapagliflozin und Empagliflozin sind allgemein für die Behandlung von Erwachsenen mit chronischer Niereninsuffizienz zugelassen und werden im vorliegenden Anwendungsgebiet im Rahmen einer supportiven Basistherapie zusätzlich zu einer RAS-Inhibition eingesetzt.

Der Einsatz von ACE-Hemmern und AT1-Antagonisten ist auch bei jenen Patientinnen und Patienten mit C3G medizinisch notwendig, die keine Hypertonie oder einen Diabetes mellitus aufweisen. Beide Therapieoptionen sind bei diesem Patientenkollektiv nicht zugelassen. Gemäß der vorliegenden Evidenz werden ACE-Hemmer und AT1-Antagonisten in Kombination mit einem SGLT2-Inhibitor nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse im zu bewertenden Anwendungsgebiet als Therapiestandard in der Versorgungssituation angesehen und sind der alleinigen Anwendung der zugelassenen SGLT2-Inhibitoren regelhaft

vorzuziehen. Es ist daher gemäß § 6 Absatz 2 Satz 3 Nummer 3 AM-NutzenV sachgerecht, für dieses Patientenkollektiv den zulassungsüberschreitenden Einsatz von ACE-Hemmern und AT1-Antagonisten als Teil einer supportiven Basistherapie im Rahmen der zweckmäßigen Vergleichstherapie zu bestimmen.

Folglich wird davon ausgegangen, dass die Patientinnen und Patienten in beiden Behandlungsarmen eine supportive Basistherapie zur Nephroprotektion und zur Kontrolle des Blutdrucks mit der maximal verträglichen Dosis von ACE-Hemmern/ AT1-Antagonisten in Kombination mit einem SGLT2-Inhibitor erhalten.

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 Iptacopan wie folgt bewertet:

Für Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie ist der Zusatznutzen nicht belegt.

Begründung:

Für die Nutzenbewertung legt der pharmazeutische Unternehmer Auswertungen der doppelblinden, randomisierten, placebokontrollierten Studie APPEAR-C3G vor.

In die Studie wurden Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis 60 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie eingeschlossen. Für die vorliegende Bewertung ist nur die Erwachsenen-Kohorte relevant. Die Diagnosestellung wurde durch eine Nierenbiopsie innerhalb von 12 Monaten vor dem Screening oder anhand einer Biopsie von Tag -45 bestätigt. Patientinnen und Patienten mussten seit ≥ 90 Tagen vor der Randomisierung einen Renin-Angiotensin-System(RAS)-Inhibitor in maximal empfohlener oder tolerierter Dosis erhalten haben. Weiterhin musste das Protein/Kreatinin-Verhältnis im Urin (UPCR) ≥ 1 g/g und die glomeruläre Filtrationsrate (GFR) ≥ 30 ml/min/1,73 m² betragen.

Es wurden insgesamt 74 Patientinnen und Patienten zufällig einer Behandlung mit Iptacopan (N = 38) oder Placebo (N = 36) zugeteilt. Dabei wurde für die hier relevante Erwachsenen-Kohorte ein Verhältnis von 1:1 angesetzt. Die Randomisierung erfolgte stratifiziert nach Vortherapie mit Mycophenolsäuren und / oder Glukokortikoiden (ja vs. nein).

Die Studie gliedert sich in eine Screeningphase (bis zu 90 Tage), eine 6-monatige Behandlungsphase und eine 30-tägige Nachbeobachtungsphase. Der primäre Endpunkt war die Proteinurie zu Monat 6. Sekundäre Endpunkte umfassen Endpunkte der Kategorien Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität und Nebenwirkungen.

zu der für die Nutzenbewertung relevanten Teilpopulation

Im Dossier legt der pharmazeutische Unternehmer eine Teilpopulation derjenigen Patientinnen und Patienten vor, die Mycophenolatmofetil (MMF) und Kortikosteroide (GC) als Vor- und Begleittherapie erhielten (je Studienarm N = 9), um den randomisierten Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie im Sinne eines Add-on Designs zu ermöglichen.

Somit liegen aufgrund des Studiendesigns lediglich Daten zu Iptacopan als Zusatztherapie zu MMF + GC vor.

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

Mortalität

In der relevanten Teilpopulation traten keine Todesfälle auf.

Morbidität

Fatigue (FACIT-Fatigue, PGI-S)

Der Endpunkt Fatigue ist für die Bewertung grundsätzlich relevant. Der pharmazeutische Unternehmer legt in seinem Dossier zu diesem patientenberichteten Endpunkt Auswertungen vor, die mittels Functional Assessment of Chronic Illness Therapy (FACIT-Fatigue) und Patient Global Impression of Severity (PGI-S) erhoben wurden. Im Hinblick auf die vorgelegten Auswertungen liegt somit eine potenzielle Doppelerfassung hinsichtlich des Endpunktes „Fatigue“ vor.

Die Auswertungen zu den patientenberichteten Endpunkten der Studie APPEAR-C3G sind jedoch nicht geeignet, da im Vergleichsarm lediglich für 6 der 9 Patientinnen und Patienten Baselinewerte vorliegen. Dies bedeutet einen zu großen Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen (> 15 Prozentpunkte) hinsichtlich des Anteils an Patientinnen und Patienten, die nicht in der Auswertung berücksichtigt wurden.

Gesundheitszustand (EQ-5D-VAS)

Der Endpunkt Gesundheitszustand ist für die Bewertung grundsätzlich relevant. Der pharmazeutische Unternehmer legt in seinem Dossier zu diesem patientenberichteten Endpunkt Auswertungen vor, die mittels VAS des EQ-5D erhoben wurden. Die Auswertungen zu den patientenberichteten Endpunkten der Studie APPEAR-C3G sind jedoch nicht geeignet (siehe Ausführungen zum Endpunkt Fatigue).

Proteinurie (UPCR)

Der pharmazeutische Unternehmer legt für den Endpunkt Proteinurie (UPCR, basierend auf 24-Stunden-Sammelurin) mehrere Operationalisierungen, unter anderem die Veränderung des UPCR gegenüber Baseline, vor.

Der Endpunkt stellt einen Laborparameter ohne direkten Symptombefund dar. Innerhalb des G-BA herrschen unterschiedliche Auffassungen darüber, ob die Proteinurie einen per se patientenrelevanten Endpunkt darstellt. Die Proteinurie stellt – wie auch im Stellungnahmeverfahren adressiert wurde – einen relevanten Parameter zur Therapiesteuerung im vorliegenden Anwendungsgebiet dar.

Der pharmazeutische Unternehmer hat im Dossier keine Surrogatvalidierung vorgelegt. Er erwähnt in seinem Dossier auch keine Publikationen, die Validierungsstudien auf Basis von RCTs im Sinne einer Korrelationsanalyse zwischen einem Behandlungseffekt auf den Surrogatendpunkt und einem Behandlungseffekt auf einen patientenrelevanten Endpunkt darstellen. Stattdessen erwähnt er eine Publikation und einen Tagungsbeitrag, die auf Kohortenstudien beruhen. Es liegt jedoch keine fokussierte Recherche vor, welche die Vollständigkeit der Datengrundlage hinreichend sicherstellt. Auf Basis der vorliegenden Informationen ist daher keine Bewertung der Proteinurie als Surrogatendpunkt möglich. Der Endpunkt Proteinurie wird daher nur ergänzend dargestellt.

Glomeruläre Filtrationsrate (eGFR)

Der pharmazeutische Unternehmer legt für den Endpunkt glomeruläre Filtrationsrate (eGFR) die Operationalisierungen $\leq 10\%$ bzw. $\leq 15\%$ Reduktion gegenüber Baseline vor. Der Endpunkt stellt einen Laborparameter ohne direkten Symptombefund dar. Der pharmazeutische Unternehmer hat im Dossier keine Surrogatvalidierung vorgelegt. Aufgrund der hohen eGFR-Ausgangswerte (Median: 88 bzw. 106 ml/min/1,73 m²) ist zudem davon auszugehen, dass der Endpunkt für keine Patientin bzw. keinen Patienten eine spürbare Verschlechterung der Nierenfunktion abbildet.

Grundsätzlich stellt die eGFR einen wichtigen Parameter zur Überwachung des klinischen Verlaufes sowie der Krankheitsprogression dar. Innerhalb des G-BA herrschen unterschiedliche Auffassungen darüber, ob die Nierenfunktion gemessen anhand der eGFR einen per se patientenrelevanten Endpunkt darstellt. Der Endpunkt wird daher nicht für die Nutzenbewertung herangezogen.

Lebensqualität

SF-36

Der körperliche Summenscore (PCS) und psychische Summenscore (MCS) des Short Form-36 Health Survey (SF-36) sind für die Bewertung grundsätzlich relevant. Der pharmazeutische Unternehmer legt in seinem Dossier zu diesem patientenberichteten Endpunkt jedoch Auswertungen vor, die nicht geeignet sind (siehe Ausführungen zum Endpunkt Fatigue).

Nebenwirkungen

Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE)

Für den Endpunkt SUE zeigt sich kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Abbruch wegen unerwünschter Ereignisse (UE)

Es trat in der relevanten Teilpopulation kein „Abbruch wegen UE“ auf.

Spezifische UE

Im Detail zeigt sich für das spezifische UE „Infektionen“, operationalisiert als Infektionen und parasitäre Erkrankungen (SOC, UEs und SUEs), bezüglich der „Infektionen (UE)“ kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen, während bezüglich der „Infektionen (SUE)“ in der relevanten Teilpopulation keine Ereignisse auftraten.

Gesamtbewertung

Für die Nutzenbewertung liegt die doppelblinde, randomisierte, placebokontrollierte Studie APPEAR-C3G vor, die Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis 60 Jahren mit Komplement-3-Glomerulopathie einschließt. Die relevante Teilpopulation bildet sich aus den erwachsenen Patientinnen und Patienten, die entweder Iptacopan oder Placebo, jeweils zusätzlich zu Mycophenolatmofetil und Kortikosteroiden, erhielten.

In der relevanten Teilpopulation der Studie traten keine Todesfälle auf.

In der Kategorie Morbidität liegen für die Endpunkte Fatigue (FACIT-Fatigue, PGI-S) und Gesundheitszustand (EQ-5D-VAS) keine geeigneten Daten vor.

In der Kategorie gesundheitsbezogene Lebensqualität liegen für den Endpunkt SF-36 (körperlicher Summenscore und psychischer Summenscore) ebenfalls keine geeigneten Daten vor.

In der Kategorie Nebenwirkungen zeigt sich bei den Gesamtraten der SUE kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen. Es traten in der relevanten Teilpopulation zudem keine Therapieabbrüche aufgrund von UE auf.

In der Gesamtschau der Ergebnisse sind die vorgelegten Daten insgesamt nicht ausreichend, um die Ableitung eines Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie zu rechtfertigen. Ein Zusatznutzen ist somit nicht belegt.

2.1.4 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung des Wirkstoffes Iptacopan aufgrund der Überschreitung der 30 Mio. Euro-Umsatzgrenze. Das Arzneimittel Fabhalta wurde als Orphan Drug zugelassen. Das hier bewertete Anwendungsgebiet lautet: „FABHALTA wird angewendet zur Behandlung erwachsener Patienten mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Inhibitor oder bei Patienten, die intolerant gegen RAS-Inhibitoren sind oder bei denen ein RAS-Inhibitor kontraindiziert ist.“

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurde vom G-BA Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden bestimmt. Der pharmazeutische Unternehmer legt eine Teilpopulation der RCT APPEAR-C3G vor, in der Iptacopan mit Placebo, jeweils in Kombination mit Mycophenolatmofetil und Kortikosteroiden, verglichen wurde.

In der relevanten Teilpopulation traten keine Todesfälle auf.

Für die Morbiditätsendpunkte Fatigue (FACIT-Fatigue, PGI-S) und Gesundheitszustand (EQ-5D-VAS) liegen keine geeigneten Daten vor. Die Ergebnisse zum Surrogatendpunkt Proteinurie werden nur ergänzend dargestellt.

Für den Lebensqualitätsendpunkt SF-36 (MCS, PCS) liegen ebenfalls keine geeigneten Daten vor.

In der Kategorie Nebenwirkungen zeigt sich bei den Gesamtraten der SUE kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen. In der relevanten Teilpopulation traten zudem keine Therapieabbrüche wegen UE auf.

In der Gesamtschau der Ergebnisse sind die vorgelegten Daten insgesamt nicht ausreichend, um die Ableitung eines Zusatznutzens gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie zu rechtfertigen. Ein Zusatznutzen ist somit nicht belegt.

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

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

Der G-BA berücksichtigt die im Dossier des pharmazeutischen Unternehmers angegebenen Patientenzahlen, die jedoch aufgrund verschiedener methodischer Aspekte mit Unsicherheiten behaftet sind. Unsicherheiten ergeben sich unter anderem aus dem Einschluss von Patientinnen und Patienten mit anderen glomerulären Erkrankungen und aus dem unklaren Ausschluss in Höhe von über 50 % von potenziell relevanten Patientinnen und Patienten, die keinen OPS-Code für eine Nierenbiopsie aufweisen. Insgesamt wird daher die Untergrenze als unsicher bewertet, für die Obergrenze kann tendenziell von einer Unterschätzung ausgegangen werden.

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 Fabhalta (Wirkstoff: Iptacopan) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 25. März 2026):

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

Gemäß den Vorgaben der Europäischen Zulassungsbehörde (EMA) hinsichtlich zusätzlicher Maßnahmen zur Risikominimierung ist seitens des pharmazeutischen Unternehmers Schulungsmaterial, welches Informationen für medizinisches Fachpersonal und für Patientinnen und Patienten (inkl. Patientenkarte) enthält, zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält insbesondere Informationen und Warnhinweise zum unter Iptacopan erhöhten Risiko einer Infektion mit bekapselten Bakterien.

2.4 Therapiekosten

Die Therapiekosten basieren auf den Angaben der Fachinformationen sowie den Angaben der Lauer-Taxe (Stand: 1. April 2026). Für die Berechnung der Therapiekosten wird in der Regel der nach der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nächstliegende aktualisierte Stand der Lauer-Taxe zugrunde gelegt.

Es wird für die Abbildung der Kosten rechnerisch für alle Arzneimittel ein Jahr angenommen. Für die Berechnung der „Anzahl Behandlungen/Patient/Jahr“, Zeitintervalle zwischen einzelnen Behandlungen und für die maximale Therapiedauer, sofern in der Fachinformation angegeben, wird die Zeiteinheit „Tage“ verwendet.

Für die Kostendarstellung werden nur die Dosierungen des Regelfalls betrachtet. Patientenindividuelle Dosisanpassungen, zum Beispiel 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.

Für die als zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmten Therapieoptionen gibt es keine im vorliegenden Anwendungsgebiet zugelassenen Arzneimittel. Für die Kostendarstellung der einzelnen Therapieoptionen wird auf die jeweils referenzierten Quellen abgestellt.

Es wurden die in den Fachinformationen bzw. den gekennzeichneten Publikationen empfohlenen (Tages)-Dosen als Berechnungsgrundlage herangezogen.

Kortikosteroide sind mehreren Festbetragsgruppen zugeordnet. Beispielhaft wird als Vertreter aus der Wirkstoffklasse der oralen Glukokortikoiden Prednisolon aus wirtschaftlichen Gründen dargestellt.

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Iptacopan	kontinuierlich, 2 x täglich	365,0	1	365,0
Zweckmäßige Vergleichstherapie				
Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden				
Mycophenolatmofetil	kontinuierlich, 1 ⁶ x oder 2 ⁷ x täglich	365,0	1	365,0
Prednison	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					
Iptacopan	200 mg	400 mg	2 x 200 mg	365,0	730 x 200 mg
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden					
Mycophenolatmofetil	1 000 mg	1 000 mg ⁶ oder 2 000 mg ⁷	2 x 500 mg oder 4 x 500 mg	365,0	730 x 500 mg oder 1 460 x 500 mg
Prednison	2,5 mg – 5 mg	2,5 mg – 5 mg	0,5 ⁸ x 5 mg – 1 x 5 mg	365,0	182,5 x 5 mg – 365 x 5 mg

⁶ Rabasco C, Caverio T, Roman E et al. Effectiveness of mycophenolate mofetil in C3 glomerulonephritis. *Kidney Int* 2015; 88(5): 1153-1160. <https://doi.org/10.1038/ki.2015.227>.

⁷ Avasare RS, Canetta PA, Bomback AS et al. Mycophenolate Mofetil in Combination with Steroids for Treatment of C3 Glomerulopathy: A Case Series. *Clin J Am Soc Nephrol* 2018; 13(3): 406-413. <https://doi.org/10.2215/CJN.09080817>.

⁸ Tabletten in 2 dosisgleiche Hälften teilbar

Kosten:

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

Kosten der Arzneimittel:

Bezeichnung der Therapie	Packungsgröße	Kosten (Apothekenabgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschriebener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel					
Iptacopan 200 mg	168 HKP	93 519,58 €	1,77 €	5 340,33 €	88 177,48 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Mycophenolatmofetil 500 mg ⁹	250 FTA	409,94 €	1,77 €	31,53 €	376,64 €
Prednison 5 mg ⁹	100 TAB	16,74 €	1,77 €	0,43 €	14,54 €
Abkürzungen: FTA = Filmtabletten; HKP = Hartkapseln; TAB = Tabletten					

Stand Lauer-Taxe: 1. April 2026

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 vorliegend als zweckmäßige Vergleichstherapie ausnahmsweise die zulassungsüberschreitende Anwendung von Mycophenolatmofetil in Kombination mit Kortikosteroiden bestimmt wurde, kann keine Aussage dazu getroffen werden, ob bei der Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie entsprechend der Fachinformation regelhaft Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen bestehen. Es werden daher vorliegend keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen bei den oben genannten Therapieoptionen berücksichtigt.

⁹ Festbetrag

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:

Erwachsene mit Komplement-3-Glomerulopathie (C3G)

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 Iptacopan (Fabhalta); FABHALTA® 200 mg Hartkapseln; Stand: September 25

3. Bürokratiekostenermittlung

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

4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 29. Oktober 2024 die zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt.

Am 12. Dezember 2025 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 4 fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Iptacopan beim G-BA eingereicht.

Der G-BA hat das IQWiG mit Schreiben vom 15. Dezember 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 Iptacopan beauftragt.

Die Dossierbewertung des IQWiG wurde dem G-BA am 11. März 2026 übermittelt und mit der Veröffentlichung am 16. März 2026 auf den Internetseiten des G-BA das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 7. April 2026.

Die mündliche Anhörung fand am 27. April 2026 statt.

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

Die Auswertung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 27. Mai 2026 beraten und die Beschlussvorlage abschließend beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 4. Juni 2026 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	29. Oktober 2024	Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie
AG § 35a	14. April 2026	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	27. April 2026	Durchführung der mündlichen Anhörung

AG § 35a	5. Mai 2026 19. Mai 2026	Beratung über die Dossierbewertung des IQWiG, Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	27. Mai 2026	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	4. Juni 2026	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 4. Juni 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken