Gemeinsamer Bundesausschuss

Zusammenfassende Dokumentation

über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL): Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V)
Etranacogen Dezaparvovec (Hämophilie B)
zur Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen

Vom 2. Juli 2026

Inhalt

A. Beschreibung des Verfahrensablaufs ... 2

B. Verfahren zur Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ... 3

1. Beratung über die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ... 3

2. Dokumentation des Beteiligungsverfahrens ... 3

2.1. Unterlagen des Beteiligungsverfahrens ... 5

2.2. Übersicht der Beteiligungen ... 8

2.3. Würdigung der Beteiligungen (schriftlich) ... 9

C. Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen ... 9

D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation ... 11

A. Beschreibung des Verfahrensablaufs

Sitzung	Datum	Thema / Beratungsgegenstand
AG AbD	7. Mai 2026	Beratung über die Änderung des Forderungsbeschlusses
Unterausschuss Arzneimittel	27. Mai 2026	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage über die Änderung des Forderungsbeschlusses Einleitung des Beteiligungsverfahrens
/	11. Juni 2026	Fristende für die schriftliche Beteiligung der sachverständigen Stellen
AG AbD	15. Juni 2026	Auswertung der schriftlichen Beteiligung
Unterausschuss Arzneimittel	23. Juni 2026	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	2. Juli 2026	Beschlussfassung über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung (Änderung der Anlage XII der AM-RL)

B. Verfahren zur Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen

1. Beratung über die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen

Für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec wurde mit Beschluss vom 12. Mai 2023 die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen in der Indikation Hämophilie B beschlossen. Im Rahmen des Unterausschuss Arzneimittel wurde über die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec in der Indikation Hämophilie B beraten und ein entsprechender Beschlussentwurf konsentiert.

2. Dokumentation des Beteiligungsverfahrens

Zu dem Beschlussentwurf über die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen wurden die sachverständigen Stellen gemäß § 35a Absatz 3b Sätze 7 und 8 SGB V beteiligt. Die Beteiligung erfolgte in der Weise, dass den sachverständigen Stellen schriftlich Gelegenheit gegeben wurde, sich zu den vorgesehenen Änderungen der Forderung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung zu Etranacogen Dezaparvovec zu äußern.

Zu diesem Zweck wurden Beschlussentwurf und Tragende Gründe den sachverständigen Stellen zugesendet. Ein Fachaustausch wurde nicht durchgeführt.

Folgende sachverständigen Stellen wurden angeschrieben:

Sachverständige Stellen	**Straße**	**Ort**
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM)	Kurt-Georg-Kiesinger-Allee 3	53175 Bonn
Paul-Ehrlich-Institut (PEI)	Paul-Ehrlich-Str. 51-59	63225 Langen
Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften e.V. (AWMF)	Birkenstr. 67	10559 Berlin
Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	Herbert-Lewin-Platz 1	10623 Berlin
Deutsches Hämophilieregister (DHR)	Paul-Ehrlich-Str. 51-59	63225 Langen
European Haemophilia Safety Surveillance system (EUHASS)	Cours Saint Michel 30	1040 Brüssel Belgium
German Pediatric Hemophilia Research Database (GEPHARD)	Lindwurmstr. 4; Josef-Schneider-Straße 2	80337 München; 97080 Würzburg

Sachverständige Stellen	Straße	Ort
Pediatric Network on haemophilia management (PedNet) Registry	Kinderklinik und Kinderpoliklinik im Dr. von Haunerschen Kinderspital: Lindwurmstr. 4 Universitätsklinikum Frankfurt: Klinik für Kinder- und Jugendmedizin Theodor-Stern-Kai 7	80337 München 60590 Frankfurt am Main
CSL Behring	Philipp-Reis-Str. 2	65795 Hattersheim
Novo Nordisk GmbH	Isaac-Fulda-Allee 24	55124 Mainz
Pfizer Pharma GmbH	Linkstrasse 10	10785 Berlin
UniQure	Paasheuvelweg 25a	1105 BP Amsterdam Niederlande

2.1. Unterlagen des Beteiligungsverfahrens

2.1.1 Schriftliche Beteiligung

Gemeinsamer Bundesausschuss

gemäß § 91 SGB V
Unterausschuss
Arzneimittel

Besuchsadresse:
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

Ansprechpartnerin:
Abteilung Arzneimittel

Telefon:
030 275838210

Telefax:
030 275838205

E-Mail:
nutzenbewertung35a@g-ba.de

Internet:
www.g-ba.de

Unser Zeichen:

Datum:
28. Mai 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss, Postfach 12 06 06, 10596 Berlin

An die
sachverständigen Stellen
nach §35a Absatz 3b Sätze 7
und 8 SGB V

per E-Mail

Schriftliches Beteiligungsverfahren: Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V
Etranacogen Dezaparvovec zur Behandlung der Hämophilie B

Sehr geehrte Damen und Herren,

in seiner Sitzung am 12. Mai 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf den Internetseiten des G-BA hat sich eine Weiterentwicklung bezüglich des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse ergeben.

Hierdurch ergeben sich Änderungen bezüglich der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für Etranacogen Dezaparvovec (Hämophilie B) durch den G-BA.

Im Rahmen der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach §35a Absatz 3b SGB V an dem Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung übermitteln wir Ihnen hiermit den Beschlussentwurf und die Tragenden Gründe für die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec und möchten Ihnen gerne die Gelegenheit geben, sich zu den im Beschlussentwurf genannten Änderungen bis zum

11. Juni 2026

schriftlich zu äußern. Ein Fachaustausch findet nicht statt.

Der Gemeinsame Bundesausschuss ist eine juristische Person des öffentlichen Rechts nach § 91 SGB V. Er wird gebildet von:
Deutsche Krankenhausgesellschaft, Berlin· GKV Spitzenverband, Berlin·
Kassenärztliche Bundesvereinigung, Berlin· Kassenzahnärztliche Bundesvereinigung, Köln

Gemeinsamer Bundesausschuss

Wir weisen Sie auf die Beachtung von Betriebs- und Geschäftsgeheimnissen hin. Zudem möchten wir Sie darauf aufmerksam machen, dass Ihre Äußerungen als Bestandteil der zusammenfassenden Dokumentation veröffentlicht werden können. Die zusammenfassende Dokumentation wird mit Abschluss der Beratungen im Gemeinsamen Bundesausschuss erstellt und in der Regel der Öffentlichkeit via Internet zugänglich gemacht.

Ihre schriftlichen Äußerungen, für die es keine spezifische Vorlage gibt und die frei gestaltet werden kann, einschließlich der referenzierten Literatur, reichen Sie bitte bevorzugt über das Portal für Unterlagen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V ein:

https://extern.portal.g-ba.de/

Alternativ ist eine Einreichung per E-Mail mit der Betreffzeile „2022-AbD-005_Etranacogen: Beteiligungsverfahren zur Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung“:

nutzenbewertung35a@g-ba.de

oder per Post (z. B. per CD/DVD) möglich:

Gemeinsamer Bundesausschuss
Unterausschuss Arzneimittel
Gutenbergstraße 13
10587 Berlin

Ihre schriftliche Äußerung ist als Word-Datei bzw. die Literatur als PDF-Dateien einzureichen.

Hinweis: Folgende Dateibezeichnungen sind zu verwenden:

- **für das Anschreiben: Anschreiben_2022-AbD-005_Etranacogen**
- **für die Stellungnahme: SN_2022-AbD-005_Etranacogen**
- **für die Literatur: Nummerierung_Autor_JJJJ**

Für Rückfragen stehen wir Ihnen gern zur Verfügung.

Berlin, den 28. Mai 2026

Mit freundlichen Grüßen

i. A. gez.

2.2. Übersicht der Beteiligungen

2.2.1 Übersicht des schriftlichen Beteiligungsverfahrens

Organisation	Beteiligung	Posteingang
Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM)	nein	29.05.2026
Paul - Ehrlich - Institut (PEI)	ja	09.06.2026
Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften e.V. (AWMF)	nein	
Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)	nein	
Deutsches Hämophilieregister (DHR)	ja	11.06.2026
European Haemophilia Safety Surveillance system (EUHASS)	nein	
German Pediatric Hemophilia Research Database (GEPHARD)	nein	
Pediatric Network on haemophilia management (PedNet) Registry	nein	
CSL Behring	ja	11.06.2026
Novo Nordisk GmbH	ja	09.06.2026
Pfizer Pharma GmbH	nein	
UniQure = CSL Behring	nein	

2.3. Würdigung der Beteiligungen (schriftlich)

2.3.1 Einwände allgemein zur Änderung des Komparators

Paul-Ehrlich-Institut (PEI):

Das PEI begrüßt die Reflektion der monoklonalen Antikörper als Standardtherapie und hat darüber hinaus keine weiteren Anmerkungen zu dem übermittelten Beschlussentwurf und den Tragenden Gründen für die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec.

CSL Behring GmbH

Die geplante Änderung des Therapievergleichs in der AbD spiegelt die aktuelle und angepasste Entwicklung der Versorgungssituation für Patienten mit Hämophilie B sehr gut wider. […]

Die Erweiterung der Vergleichstherapie auf eine individualisierte Therapie unter Einbezug sämtlicher relevanter Behandlungsoptionen verbessert

- die externe Validität der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, indem die tatsächlichen Therapieentscheidungen im Versorgungsalltag besser abgebildet werden, sowie
- die Rekrutierbarkeit der Patientenpopulation, da ein breiteres Spektrum an Patientinnen und Patienten in die Datenerhebung eingeschlossen werden kann, bzw. ein Therapiewechsel von/zu einer nicht-substitutiven Therapie nicht zum vorzeitigen Ausscheiden aus der Studie und damit Verlust auswertbarer Daten führt.

Damit trägt die vorgeschlagene Anpassung zur Zielerreichung der AbD gemäß § 35a Absatz 3b SGB V bei, eine belastbare Evidenzgrundlage unter Versorgungsbedingungen zu generieren.

Gleichzeitig möchten wir darauf hinweisen, dass sich durch die Änderung neue Herausforderungen bei der technischen Umsetzung, sowie der Auswertung und Interpretation der Analyseergebnisse der AbD ergeben werden, die wir in der Kürze der Zeit noch nicht vollumfänglich abschätzen können.

Deutsches Hämophilieregister (DHR)

Im DHR ist die Erfassung der monoklonalen Antikörper als Standardtherapie in der AbD für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec abbildbar. Darüber hinaus bestehen keine weiteren Anmerkungen zu dem übermittelten Beschlussentwurf und den Tragenden Gründen für die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec.

Novo Nordisk Pharma GmbH

Die Novo Nordisk Pharma GmbH begrüßt die Aufnahme der Wirkstoffe Marstacimab und Concizumab als Komparatoren für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zu Etranacogen Dezaparvovec zur Behandlung der Hämophilie B. Wie in den Tragenden Gründen zum Beschlussentwurf über die Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b SGB V für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec zur Behandlung der Hämophilie B auf Seite 3 ausgeführt, haben die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) und die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) in ihren Stellungnahmen im Rahmen der Nutzenbewertungen zu Marstacimab und Concizumab unterstrichen, dass beide Wirkstoffe eine wichtige Ergänzung in der Behandlung der Hämophilie B darstellen. Zudem werden beide Wirkstoffe in der im März 2026 veröffentlichten Hämophilie-Leitlinie der DGHO [5] als Therapieoptionen

zur Behandlung der Hämophilie B genannt, womit aus Sicht der Novo Nordisk Pharma GmbH für beide Wirkstoffe mittlerweile eine einhellige Therapieempfehlung für den Einsatz im Anwendungsgebiet der Hämophilie B vorliegt. […]

Bewertung des G-BA:
Das beteiligte Register DHR und die beteiligten Sachverständigen befürworten eine Aufnahme der Wirkstoffe Marstacimab und Concizumab als Komparatoren in die Vergleichsgruppe für die anwendungsbegleitende Datenerhebung für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec. Für die vorliegende Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec wird daher auf Basis der aktuellen Evidenz und unter Berücksichtigung des aktuellen deutschen Versorgungskontextes und der Aussagen des beteiligten Registers und der Sachverständigen im Beteiligungsverfahren eine individualisierte Therapie unter Auswahl von rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten und Marstacimab und Concizumab als neuer Komparator für die anwendungsbegleitende Studie definiert.

C. Änderung der Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen

Der Beschluss sowie die Tragenden Gründe zum Beschluss sind gesondert dokumentiert und auf den Internetseiten des Gemeinsamen Bundesausschusses veröffentlicht.

https://www.g-ba.de/anwendungsbegleitende-datenerhebung-verfahren/4/

Veröffentlichung des Beschlusses im Bundesanzeiger:

BAnz AT 24.07.2026 B6

https://www.bundesanzeiger.de/pub/de/amtlicher-teil?0

D. Anhang der Zusammenfassenden Dokumentation

Gemeinsamer Bundesausschuss

Beschlussentwurf

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): Etranacogen Dezaparvovec (Hämophilie B); Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen - Änderung

Vom [Datum]

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am [Datum] beschlossen, die Anlage XII der Arzneimittel-Richtlinie (AM-RL) in der Fassung vom 18. Dezember 2008 / 22. Januar 2009 (BAnz. Nr. 49a vom 31. März 2009), die durch die Bekanntmachung des Beschlusses vom T. Monat JJJJ (BAnz AT TT.MM.JJJJ BX) zuletzt geändert worden ist, wie folgt zu ändern:

I. Die Angaben zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V zu dem Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec in der Fassung des Beschlusses vom 12. Mai 2023 (BAnz AT 09.06.2023 B3) werden wie folgt geändert:

1. Abschnitt 1.1. „Fragestellung gemäß PICO-Schema“ wird wie folgt geändert:

   In der Tabelle wird in der Zeile „Comparator“ die Angabe „Rekombinante oder aus humanem Plasma gewonnene Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparate[a]“ durch die Angabe „Individualisierte Therapie unter Auswahl von rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten[a] und Marstacimab und Concizumab“ ersetzt.

2. Abschnitt 1.5 „Anforderungen an die Erstellung des Studienprotokolls und statistischen Analyseplans“ wird wie folgt geändert:

   Nach der Angabe „Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten“ wird die Angabe „und Marstacimab und Concizumab“ eingefügt.

II. Das überarbeitete Studienprotokoll und der überarbeitete SAP sind dem G-BA bis zum [Datum] vorzulegen.

III. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom Tag seiner Veröffentlichung auf den Internetseiten des G-BA am [Datum] in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf den Internetseiten des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den [Datum]

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

Gemeinsamer Bundesausschuss

Tragende Gründe

zum Beschlussentwurf 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)
Etranacogen Dezaparvovec (Hämophilie B); Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen - Änderung

Vom [Datum]

Inhalt

1. Rechtsgrundlage 2

2. Eckpunkte der Entscheidung 2

3. Bürokratiekostenermittlung 5

4. Verfahrensablauf 5

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb einer angemessenen Frist die Vorlage anwendungsbegleitender Datenerhebungen und Auswertungen zum Zweck der Nutzenbewertung fordern:

1. bei Arzneimitteln, deren Inverkehrbringen nach dem Verfahren des Artikels 14 Absatz 8 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 31. März 2004 zur Festlegung von Gemeinschaftsverfahren für die Genehmigung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und zur Errichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur (ABl. L 136 vom 30.4.2004, S. 1), die zuletzt durch die Verordnung 162 Verfahrensordnung Stand: 16. Dezember 2020 (EU) 2019/5 (ABl. L 4 vom 7.1.2019, S. 24) geändert worden ist, genehmigt wurde oder für die nach Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 eine Zulassung erteilt wurde, sowie
2. bei Arzneimitteln, die zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung Nr. 141/2000 zugelassen sind.

2. Eckpunkte der Entscheidung

In seiner Sitzung am 12. Mai 2023 hat der G-BA die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec gemäß § 35a SGB V beschlossen.

Im Nachgang zu der Veröffentlichung des Beschlusses auf den Internetseiten des G-BA hat sich unter Berücksichtigung der Beschlüsse zur Nutzenbewertung von Marstacimab vom 17. Juli 2025 und von Concizumab vom 19. März 2026 eine Weiterentwicklung bezüglich des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse ergeben.

Zu den Änderungen im Einzelnen

Im Beschluss zur Nutzenbewertung von Marstacimab vom 17. Juli 2025 konnte der G-BA keinen Zusatznutzen von Marstacimab für Erwachsene und Jugendliche ab einem Alter von 12 Jahren mit schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, FIX < 1 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren zur Routineprophylaxe gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie feststellen. Für die Nutzenbewertung wurde die zulassungsbegründende, offene, einarmige Phase-III-Studie BASIS mit einem intra-individuellen Vorher-Nachher Vergleich vorgelegt, die aufgrund des fehlenden Vergleiches gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie als nicht für die Beurteilung eines Zusatznutzens geeignet eingeschätzt wurde.

Gleichfalls konnte der G-BA im Beschluss zur Nutzenbewertung von Concizumab vom 19. März 2026 keinen Zusatznutzen für Erwachsene und Jugendliche ab 12 Jahren mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (FIX ≤ 2 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren mit Indikation zur Routineprophylaxe gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie feststellen. Für die Nutzenbewertung wurde die zulassungsbegründende, teilweise randomisierte, offene Studie Explorer8 mit einem Vergleich einer Routineprophylaxe mit Concizumab und einer Bedarfsbehandlung mit Faktorpräparaten vorgelegt, die aufgrund des fehlenden Vergleiches

gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie als nicht für die Beurteilung eines Zusatznutzens geeignet eingeschätzt wurde.

Im schriftlichen Stellungnahmeverfahren für den Wirkstoff Marstacimab und Concizumab hat die Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH), zusammen mit der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO) ausgeführt, dass die Antikörper Marstacimab und Concizumab auf einem neuen pathophysiologischen Konzept beruhen: der Hemmung des Tissue Factor Pathway Inhibitors (TFPI), um eine Normalisierung der Thrombinbildung zu erreichen. Dies sei mit der bisherigen Ersatztherapie durch Faktorpräparate nicht zu erreichen, so dass TFPI-Inhibitoren eine wichtige Ergänzung in der Behandlung der Hämophilie B darstellen würden.

Unter Berücksichtigung der obigen Aspekte erachtet der G-BA Marstacimab und Concizumab als einen relevanten zusätzlichen Komparator für die Forderung der anwendungsbegleitenden Datenerhebung für Etranacogen Dezaparvovec, weshalb die dem vorliegenden Beschluss zugrundeliegende Anpassung der AM-RL als sachgerecht und notwendig angesehen wird. Auf Basis der aktuellen Evidenz und unter Berücksichtigung des aktuellen deutschen Versorgungskontextes bestimmt der G-BA für Erwachsene mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel) ohne Faktor-IX-Inhibitoren in der Vorgeschichte eine individualisierte Therapie unter Auswahl von rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten und Marstacimab und Concizumab als Komparator für die geforderte anwendungsbegleitenden Datenerhebung für Etranacogen Dezaparvovec.

Bei der Beurteilung wurden folgende Kriterien herangezogen:

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 nichtmedikamentöse 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.

Aussage zu Kriterium 1: Im Anwendungsgebiet der Hämophilie B sind neben Etranacogen Dezaparvovec folgende Wirkstoffe zugelassen:

- Rekombinante Faktor-IX-Präparate: Albutrepenonacog alfa, Eftrenonacog alfa, Nonacog alfa, Nonacog beta pegol und Nonacog gamma;
- humane Plasma Faktor-IX-Präparate;
- Faktor-VIII-Inhibitor-Bypassing-Aktivität angereicherte Humanplasmafraktion;
- rekombinantes Blutgerinnungsfaktor-VIIa-Präparat: Eptacog alfa;
- monoklonale Antikörper: Marstacimab, Concizumab.

Aussage zu Kriterium 2: Eine nicht-medikamentöse Behandlung kommt als Vergleichstherapie im Anwendungsgebiet nicht in Betracht.

Aussage zu Kriterium 3: Es liegen folgende Beschlüsse des G-BA über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V im Anwendungsgebiet „Hämophilie B“ vor:

- Albutrepenonacog alfa vom 1. Dezember 2016 (aufgehoben) und vom 7. April 2022,
- Eftrenonacog alfa vom 15. Dezember 2016 (aufgehoben) und vom 1. Februar 2024,
- Nonacog beta pegol vom 19. April 2018 und vom 15. Februar 2024,
- Etranacogen Dezaparvovec vom 19. Oktober 2023,
- Marstacimab vom 17. Juli 2025,
- Concizumab vom 16. Oktober 2025 und 19. März 2026.

Aussage zu Kriterium 4: Mit Marstacimab und Concizumab sind im vorliegenden Anwendungsgebiet zwei neue Arzneimittel zugelassen. Seitens der Fachgesellschaften wurden Marstacimab und Concizumab im Rahmen der jeweiligen Nutzenbewertungsverfahren als neue und wichtige ergänzende Optionen für die prophylaktische Behandlung von Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie B bzw. mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B ohne Faktor-IX-Hemmkörper benannt. In der Gesamtschau der aktuell vorliegenden Evidenz lässt sich jedoch keine einhellige Therapieempfehlung für den Einsatz von Marstacimab und Concizumab im vorliegenden Anwendungsgebiet ableiten. Im Rahmen der Nutzenbewertung nach § 35a SGB V wurde festgestellt, dass der Zusatznutzen von Marstacimab und Concizumab gegenüber einer Routineprophylaxe mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten bei Erwachsenen und Jugendlichen ab einem Alter von 12 Jahren mit schwerer Hämophilie B (angeborener Faktor-IX-Mangel, FIX < 1 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren bzw. mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B (FIX ≤ 2 %) ohne Faktor-IX-Inhibitoren, nicht belegt ist. Für die vorliegende Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen werden Marstacimab und Concizumab zusätzlich zu den rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten als Komparator für die anwendungsbegleitende Studie definiert. Die Festlegung von Marstacimab und Concizumab als Komparator für die anwendungsbegleitende Studie erfolgt seitens des G-BA unter Berücksichtigung der erforderlichen Dauer der anwendungsbegleitenden Datenerhebung, während welcher sich bezogen auf den allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse im vorliegenden Anwendungsgebiet eine neue Sachlage ergeben kann. Dies ist grundsätzlich getrennt von der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie zu betrachten, welche rechtlich verbindlich erst mit dem Beschluss über die Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 3 SGB V erfolgt.

Unter Berücksichtigung der beschriebenen Gesichtspunkte definiert der G-BA als Komparator für die vorliegende anwendungsbegleitende Datenerhebung in der Gesamtschau eine individualisierte Therapie unter Auswahl von rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten und Marstacimab und Concizumab. Entsprechend der genannten Ausführungen sollen für die anwendungsbegleitende Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V für die vorliegend geforderte Patientenpopulation Daten gegenüber einer Behandlung mit rekombinanten oder aus humanem Plasma gewonnenen Blutgerinnungsfaktor-IX-Präparaten und Marstacimab und Concizumab erhoben werden.

Diese Änderung ist im Rahmen eines Addendums zum Studienprotokoll und zum Statistischen Analyseplan für die AbD-Studie für den Wirkstoff Etranacogen Dezaparvovec entsprechend

den Vorgaben der VerfO umzusetzen und gemeinsam mit der 2. Zwischenanalyse zur Überprüfung vorzulegen.

Die auf Basis der vorliegenden Änderung des Komparators notwendigen Anpassungen des Studienprotokolls und des SAP sind dem G-BA zum [Datum] vorzulegen.

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

Im Nachgang zur Beschlussfassung vom 12. Mai 2023 über eine Änderung der AM-RL Anlage XII - Beschlüsse über die Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V – Etranacogen Dezaparvovec hat sich unter Berücksichtigung der Beschlüsse zur Nutzenbewertung von Marstacimab vom 17. Juli 2025 und von Concicumab vom 19. März 2026 eine Weiterentwicklung bezüglich des allgemein anerkannten Standes der medizinischen Erkenntnisse ergeben.

Hierdurch ergeben sich Änderungen an den Anforderungen des G-BA hinsichtlich der anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen.

Der Sachverhalt wurde in der Arbeitsgruppe AG AbD und im Unterausschuss Arzneimittel beraten.

Der Unterausschuss hat in der Sitzung am 27. Mai 2026 die schriftliche Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 35a Absatz 3b Satz 7 und 8 SGB V einstimmig beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	**Datum**	**Beratungsgegenstand**
AG AbD	7. Mai 2026 18. Mai 2026	Beratung über die Änderung des Forderungsbeschlusses
Unterausschuss Arzneimittel	27. Mai 2026	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage über die Änderung des Forderungsbeschlusses Einleitung des Beteiligungsverfahrens

Berlin, den [Datum]

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken