

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)

Pegcetacoplan (neues Anwendungsgebiet: Komplement-3-
Glomerulopathie, ≥ 12 Jahre)

Vom 6. August 2026

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung	3
2.1	Zusatznutzen des Arzneimittels	4
2.1.1	Zugelassenes Anwendungsgebiet von Pegcetacoplan (Aspaveli) gemäß Fachinformation	4
2.1.2	Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise	4
2.1.3	Kurzfassung der Bewertung	8
2.2	Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	9
2.3	Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	9
2.4	Therapiekosten	10
3.	Bürokratiekostenermittlung	12
4.	Verfahrensablauf	12

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

Der Wirkstoff Pegcetacoplan (Aspaveli) wurde am 1. April 2022 erstmals in der Großen Deutschen Spezialitäten-Taxe (Lauer-Taxe) gelistet.

Am 15. Januar 2026 hat Pegcetacoplan 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.

Pegcetacoplan zur Behandlung der Komplement-3-Glomerulopathie, ≥ 12 Jahre 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 pharmazeutische Unternehmer hat fristgerecht am 11. Februar 2026, d.h. spätestens innerhalb von vier Wochen nach der Unterrichtung des pharmazeutischen Unternehmers über die Genehmigung für ein neues Anwendungsgebiet, ein Dossier gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 2 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 2 der Verfahrensordnung (VerfO) des G-BA zum Wirkstoff Pegcetacoplan mit dem neuen Anwendungsgebiet „Aspaveli wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Hemmer, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert.“ eingereicht.

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. Mai 2026 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 G26-03) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen 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 Pegcetacoplan nicht abgestellt.

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

Ausgehend hiervon ist der G-BA, unter Berücksichtigung der eingegangenen Stellungnahmen sowie der mündlichen Anhörung, zu folgender Bewertung gelangt:

2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Pegcetacoplan (Aspaveli) gemäß Fachinformation

Aspaveli wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3-Glomerulopathie (C3G) oder primärer immunkomplexvermittelter membranoproliferativer Glomerulonephritis (IC-MPGN) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Hemmer, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 6. August 2026):

Aspaveli wird angewendet zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3-Glomerulopathie (C3G) in Kombination mit einem Renin-Angiotensin-System (RAS)-Hemmer, es sei denn, die Behandlung mit einem RAS-Hemmer wird nicht vertragen oder ist kontraindiziert.

2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Pegcetacoplan wie folgt bewertet:
Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Begründung:

Für die Nutzenbewertung legt der pharmazeutische Unternehmer Auswertungen der Phase-III-Studie VALIANT vor. Es handelt sich hierbei um eine multizentrische, randomisierte, placebokontrollierte, doppelt-verblindete Studie zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit von Pegcetacoplan bei erwachsenen und jugendlichen Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit C3G oder IC-MPGN.

Eingeschlossen wurden Personen mit C3G oder primärer IC-MPGN (mit oder ohne bereits erfolgte Nierentransplantation) ab 12 Jahren und ≥ 30 kg Körpergewicht mit dem Nachweis einer aktiven Erkrankung, mit einer Proteinurie ≥ 1 g/Tag mittels 24-Stunden-Sammelurinprobe bzw. uPCR $\geq 1,0$ g/g in mind. 2 FMU-Proben während des Screenings und mit einer eGFR ≥ 30 ml/min/1,73 m². Zudem erhielten die Patientinnen und Patienten als Begleitmedikation ein stabiles Behandlungsschema für C3G bzw. IC-MPGN seit mind. 12 Wochen vor der Randomisierung, bestehend unter anderem aus RAS-Inhibitoren (z. B. ACEi, ARB) und/oder SGLT2-Inhibitoren und/oder Immunsuppressiva (z. B. MMF, Cyclophosphamid) und/oder Prednison oder systemischen Kortikosteroiden (z. B. Prednison) bis maximal 20 mg/Tag.

Ausgeschlossen wurden unter anderem Personen mit C3G/IC-MPGN als Sekundärerkrankung, Personen mit einer Verbesserung der Nierenerkrankung 8 Wochen vor oder während der Screening-Phase und Personen mit einer therapiepflichtigen Nierentransplantant-Abstoßungsreaktion bei Vorliegen einer Baseline-Nierenbiopsie.

Es erfolgte eine 1:1-Randomisierung auf eine Behandlung mit Pegcetacoplan (N = 63) oder Placebo (N = 61). Stratifiziert wurde nach Rezidiv nach Transplantation (ja vs. nein) und

Nierenbiopsie zu Baseline (ja vs. nein). Nachfolgend betrachtet wird die Teilpopulation der Studie mit C3G: Pegcetacoplan (N = 51) und Placebo (N = 45).

Die Studie umfasst eine 10-wöchige Screeningphase, eine 26-wöchige doppelblinde, placebokontrollierte Studienphase, eine 26-wöchige offene einarmige Studienphase und einen 8-wöchigen Sicherheits-Follow-up.

Mortalität

Die Todesfälle wurden im Rahmen der Sicherheitserhebung erfasst. Insgesamt trat in der betrachteten Teilpopulation ein Todesfall im Verumarm auf. Es zeigt sich kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Morbidität

Veränderung der Nierenfunktion, gemessen anhand der Proteinurie

Als primärer Endpunkt der Studie wurde die „Veränderung der Nierenfunktion, gemessen anhand der Proteinurie“, unter anderem operationalisiert als Veränderung der log-transformierten FMU-uPCR zu Woche 26 gegenüber Baseline, erhoben.

Der Endpunkt stellt einen Laborparameter ohne direkten Symptombezug dar. Innerhalb des G-BA herrschen unterschiedliche Auffassungen darüber, ob die Proteinurie einen per se patientenrelevanten Endpunkt darstellt. Die Proteinurie stellt - gemeinsam mit der eGFR - einen relevanten Parameter zur Therapiesteuerung im vorliegenden Anwendungsgebiet dar.

Für das vorliegende Nutzenbewertungsverfahren legt der pharmazeutische Unternehmer keine geeigneten Untersuchungen zur Validierung der Proteinurie als Surrogat für einen patientenrelevanten Endpunkt vor. Eine abschließende Bewertung zur etwaigen Surrogatvalidierung der Proteinurie kann daher auf Grundlage der eingereichten Unterlagen im vorliegenden Verfahren nicht erfolgen. Der Endpunkt Proteinurie wird daher nur ergänzend dargestellt. Es zeigt sich ein statistisch signifikanter Unterschied zugunsten von Pegcetacoplan gegenüber Placebo.

Veränderung der Nierenfunktion, gemessen anhand der glomerulären Filtrationsrate (eGFR)

Der Endpunkt „Veränderung der Nierenfunktion, gemessen anhand der eGFR“ wurde in der Studie als Veränderung der eGFR zu Woche 26 gegenüber Baseline operationalisiert.

Der Endpunkt stellt einen Laborparameter ohne direkten Symptombezug dar. Innerhalb des G-BA herrschen unterschiedliche Auffassungen darüber, ob die Nierenfunktion gemessen anhand der eGFR einen per se patientenrelevanten Endpunkt darstellt. Die eGFR stellt – gemeinsam mit der Proteinurie - einen relevanten Parameter zur Therapiesteuerung im vorliegenden Anwendungsgebiet dar.

Für das vorliegende Nutzenbewertungsverfahren legt der pharmazeutische Unternehmer keine geeigneten Untersuchungen zur Validierung der eGFR als Surrogat für einen patientenrelevanten Endpunkt vor. Eine abschließende Bewertung zur etwaigen Surrogatvalidierung des eGFR kann daher auf Grundlage der eingereichten Unterlagen im vorliegenden Verfahren nicht erfolgen. Der Endpunkt eGFR wird daher nur ergänzend dargestellt. Es zeigt sich kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Fatigue (FACIT-Fatigue, Peds FACIT-F)

Der Endpunkt „Fatigue“ wurde in der Studie mittels FACIT-Fatigue für Erwachsene und Peds FACIT-F für Kinder und Jugendliche zwischen 12 und 17 Jahren erhoben.

Der „Functional Assessment of Chronic Illness Therapy – Fatigue Scale“ (FACIT-Fatigue) ist ein Fatigue-spezifisches Modul des „Functional Assessment of Chronic Illness Therapy Measurement System“ (FACIT). Der FACIT-Fatigue und der für Kinder zwischen 8 und 17 Jahren vorgelegte „Pediatric Functional Assessment of Chronic Illness Therapy – Fatigue“ (Peds FACIT-F) erfassen die Intensität/Qualität (Version für Erwachsene) bzw. Häufigkeit (pädiatrische Version) der Fatigue, sowie deren Auswirkungen auf alltägliche Aktivitäten und auf die Funktion in der vergangenen Woche anhand von jeweils 13 Items.

Die Daten zu diesem Endpunkt sind aufgrund zu geringer und teils stark differenzieller Rücklaufquoten nicht bewertbar.

WPAI:SHP (Frage 6)

Der „Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire: Specific Health Problem“ (WPAI:SHP) dient als Instrument zur krankheitsspezifischen Erfassung der selbstberichteten Beeinträchtigungen im Arbeitsleben bei Erwachsenen und enthält zudem eine Frage zur Beeinträchtigung anderer täglicher Aktivitäten. Der Fragebogen umfasst 6 Fragen, die die Arbeitsproduktivität insgesamt (5 Fragen) und die Einschränkung bei täglichen Aktivitäten (1 Frage) der letzten 7 Tage erfragt.

Es handelt sich um ein Instrument zur Messung der Beeinträchtigung der Arbeitsproduktivität und täglichen Aktivitäten. Die Beeinträchtigung täglicher Aktivitäten durch die Erkrankung (Frage 6) adressiert im Gegensatz zu den anderen 5 Fragen einen patientenrelevanten Aspekt.

Die Daten zu diesem Endpunkt sind aufgrund zu geringer Rücklaufquoten nicht bewertbar.

EQ-5D VAS

Der selbsteingeschätzte allgemeine Gesundheitszustand wurde in der Studie mittels „European Quality of Life 5-Dimension 5-Level“ (EQ-5D-5L) erhoben. Die verwendete visuelle Analogskala des EQ-5D-5L (EQ-5D VAS) erfasst den aktuellen Gesundheitszustand auf einer Skala von 100 („denkbar bester Gesundheitszustand“) bis 0 („denkbar schlechtester Gesundheitszustand“).

Die Daten zu diesem Endpunkt sind aufgrund zu geringer Rücklaufquoten nicht bewertbar.

PGI-C

Die vorliegende Version des „Patient Global Impression of Change“ (PGIC) soll in der Studie die patientenberichtete Veränderung des allgemeinen Gesundheitszustands seit Behandlungsbeginn erheben.

Unabhängig von der Geeignetheit der Operationalisierung sind die Rücklaufquoten zu gering und die Daten zu diesem Endpunkt daher nicht bewertbar.

Lebensqualität

KDQOL-36

In der Studie wurde zur Erhebung der Lebensqualität der „Kidney Disease Quality of Life instrument – 36 items“ (KDQOL-36; Version 1) eingesetzt. Der KDQOL-36 setzt sich zusammen aus 24 krankheitsspezifischen Fragen zu Nierenerkrankungen und 12 Fragen des generischen „SF-12 Health Survey“ (SF-12). Der krankheitsspezifische Teil des Fragebogens umfasst drei von acht Domänen des KDQOL-SF:

- Symptome und Probleme (12 Items)
- Krankheitslast der Nierenerkrankung (4 Items)
- Auswirkungen der Nierenerkrankung auf das tägliche Leben (8 Items)

Der SF-12 als generischer Teil des Fragebogens besteht aus den folgenden zwei Domänen:

- Physical Component Summary (PCS) mit 5 Subdomänen (7 Items)
- Mental Component Summary (MCS) mit 3 Subdomänen (5 Items)

Es zeigen sich in den Domänen des KDQOL-36 jeweils kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Nebenwirkungen

Schwerwiegende UE (SUE), schwere UE und Therapieabbrüche aufgrund von UE

Bei den Endpunkten SUE, schwere UE und Therapieabbrüche aufgrund von UE zeigt sich jeweils kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Gesamtbewertung

Für die Nutzenbewertung von Pegcetacoplan zur Behandlung Erwachsener und Jugendlicher im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3G liegen Ergebnisse der randomisierten, doppelblinden Studie VALIANT vor, in der Pegcetacoplan mit Placebo verglichen wurde.

Es trat in der betrachteten Teilpopulation ein Todesfall unter den mit Pegcetacoplan behandelten Patientinnen und Patienten auf. Es ergibt sich jedoch kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen beim Endpunkt Gesamtmortalität.

Hinsichtlich der Endpunktkategorie Morbidität sind die Daten aufgrund von zu geringen und teils stark differenzieller Rücklaufquoten nicht bewertbar.

In der Endpunktkategorie Lebensqualität zeigt sich bei dem Endpunkt KDQOL-36 in keiner Domäne ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

In der Endpunktkategorie Nebenwirkungen lassen sich ebenfalls insgesamt weder Vor- noch Nachteile von Pegcetacoplan gegenüber Placebo ableiten.

In der Gesamtbewertung der vorliegenden Ergebnisse zu den patientenrelevanten Endpunkten stuft der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens von Pegcetacoplan zur Behandlung

von Erwachsenen und Jugendlichen im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3G auf der Basis der Kriterien in § 5 Absatz 8 i.V.m. § 5 Absatz 7 Satz 1 Nummer 1 bis 4 AM-NutzenV als nicht quantifizierbar ein, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Aussagekraft der Nachweise

Die vorliegende Bewertung beruht auf den Ergebnissen der doppelblinden, randomisierten, placebokontrollierten Phase III-Studie VALIANT.

Das Verzerrungspotential wird auf Studienebene als hoch bewertet. Dies ist unter anderem auf Unsicherheiten bezüglich der Baseline-Imbalancen in Verbindung mit der post hoc erfolgten Aufteilung in zwei Teilpopulationen, für die keine Stratifizierung vorgenommen wurde, zurückzuführen. Dabei ist zu berücksichtigen, dass die beobachteten Baseline-Charakteristika in der hier betrachteten Teilpopulation auf eine höhere Krankheitsmanifestation im Pegcetacoplan-Arm im Vergleich zum Placebo-Arm zu Baseline hindeuten.

In der Gesamtschau wird die Aussagekraft der Nachweise aufgrund der genannten Unsicherheiten in die Kategorie „Anhaltspunkt“ eingestuft.

2.1.3 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung eines neuen Anwendungsgebietes für den Wirkstoff Pegcetacoplan. Aspaveli wurde als Orphan Drug und unter besonderen Bedingungen zugelassen. Das zugelassene neue Anwendungsgebiet lautet: „zur Behandlung von erwachsenen und jugendlichen Patienten im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3-Glomerulopathie (C3G) oder primärer immunkomplexvermittelter membranoproliferativer Glomerulonephritis (IC-MPGN)“. Die vorliegende Bewertung bezieht sich ausschließlich auf Patientinnen und Patienten mit C3G.

Der Nutzenbewertung liegen Ergebnisse der doppelblinden randomisierten kontrollierten Studie VALIANT zugrunde, in der Pegcetacoplan mit Placebo verglichen wurde.

Es trat in der betrachteten Teilpopulation ein Todesfall unter den mit Pegcetacoplan behandelten Patientinnen und Patienten auf. Insgesamt zeigt sich beim Endpunkt Gesamtmortalität kein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Hinsichtlich der Endpunktkategorie Morbidität liegen zur Ableitung eines Zusatznutzens keine bewertbaren Daten vor. Bei den ergänzend dargestellten Endpunkten zeigen sich im Endpunkt „Proteinurie“ ein statistisch signifikanter Unterschied zugunsten von Pegcetacoplan und im Endpunkt „eGFR“ keine statistisch signifikanten Unterschiede. Hierbei handelt es sich um Laborparameter ohne Surrogatvalidierung, die jedoch für die Therapiesteuerung relevant sind.

In der Endpunktkategorie gesundheitsbezogene Lebensqualität zeigt sich bei dem Endpunkt KDQOL-36 in keiner Domäne ein statistisch signifikanter Unterschied zwischen den Behandlungsarmen.

Bezüglich der Nebenwirkungen liegen keine für die Nutzenbewertung relevanten Unterschiede bei den schweren bzw. schwerwiegenden unerwünschten Ereignissen und Therapieabbrüchen aufgrund von unerwünschten Ereignissen vor.

Das Verzerrungspotential auf Studienebene wird als hoch angesehen, da insbesondere Unsicherheiten bezüglich der Baseline-Imbalancen in Verbindung mit der post hoc erfolgten Aufteilung in zwei Teilpopulationen ohne erfolgte Stratifizierung vorliegen. Die Aussagekraft der vorgelegten Daten ist daher insgesamt mit Unsicherheiten behaftet.

In der Gesamtschau wird ein Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen von Pegcetacoplan zur Behandlung von Erwachsenen und Jugendlichen im Alter von 12 bis 17 Jahren mit C3G festgestellt, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

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).

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 von potenziell relevanten Patientinnen und Patienten, die keinen OPS-Code für eine Nierenbiopsie aufweisen. Insgesamt werden daher sowohl die Untergrenze als auch die Obergrenze als unsicher bewertet.

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 Aspaveli (Wirkstoff: Pegcetacoplan) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 12. März 2026):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Pegcetacoplan muss durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit renalen Erkrankungen erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

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. Patientenausweis) enthält, zur Verfügung zu stellen. Das Schulungsmaterial enthält insbesondere Informationen und Warnhinweise zum unter Pegcetacoplan 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. Juni 2026).

Für die Berechnung der Therapiekosten wird in der Regel der nach der Veröffentlichung der Nutzenbewertung nächstliegende aktualisierte Stand der Lauer-Taxe zugrunde gelegt.

Ist in der Fachinformation keine maximale Therapiedauer angegeben, wird als Behandlungsdauer rechnerisch ein Jahr (365 Tage) angenommen, auch wenn die tatsächliche Therapiedauer patientenindividuell unterschiedlich und/oder durchschnittlich kürzer ist. Für die Berechnung der „Anzahl Behandlungen/Patient/Jahr“, Zeitintervalle zwischen einzelnen Behandlungen und für die maximale Therapiedauer, sofern in der Fachinformation angegeben, wird die Zeiteinheit „Tage“ verwendet.

Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Pegcetacoplan	kontinuierlich, 2 x in 7 Tagen	104,3	1	104,3

Verbrauch:

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.

Bei Dosierungen in Abhängigkeit von Körpergewicht (KG) oder Körperoberfläche (KOF) wurden die durchschnittlichen Körpermaße aus der amtlichen Repräsentativstatistik „Mikrozensus 2025 – Körpermaße der Bevölkerung“ zugrunde gelegt (durchschnittliches Körpergewicht: 48,7 kg für 12-Jährige)².

² Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (2025, beide Geschlechter), www.gbe-bund.de

Bezeichnung der Therapie	Dosierung/ Anwendung	Dosis/ Patientin bzw. Patient/ Behand- lungstage	Verbrauch nach Wirkstärke/ Behandlungstag	Behand- lungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr	Jahresdurch- schnitts- verbrauch nach Wirkstärke
Zu bewertendes Arzneimittel					
Pegcetacoplan (12 Jährige) -	810 mg -	810 mg -	1 x 810 mg -	104,3	104,3 x 810 mg -
Pegcetacoplan (Erwachsene)	1 080 mg	1 080 mg	1 x 1 080 mg	104,3	104,3 x 1 080 mg

Kosten:

Die Arzneimittelkosten wurden zur besseren Vergleichbarkeit näherungsweise sowohl auf der Basis der Apothekenverkaufspreisebene als auch abzüglich der gesetzlich vorgeschriebenen Rabatte nach § 130 und § 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.

Kosten der Arzneimittel:

Bezeichnung der Therapie	Packungs- größe	Kosten (Apotheken- abgabepreis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschrie- bener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel					
Pegcetacoplan 1 080 mg	8 INF	29 481,74 €	1,77 €	1 683,11 €	27 796,86 €
Abkürzungen: INF = Infusionslösung					

Stand Lauer-Taxe: 1. Juni 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 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.

Für die Kostendarstellung werden keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen

berücksichtigt.

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 11. Februar 2026 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 2 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Pegcetacoplan beim G-BA eingereicht.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 15. Mai 2026 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. Juni 2026.

Die mündliche Anhörung fand am 22. Juni 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 28. Juli 2026 beraten und die Beschlussvorlage abschließend beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 6. August 2026 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	12. Mai 2026	Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA
AG § 35a	16. Juni 2026	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	22. Juni 2026	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	1. Juli 2026 15. Juli 2026	Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	28. Juli 2026	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	6. August 2026	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 6. August 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk