

Tragende Gründe

zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über
die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer
anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von
Auswertungen nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches
Sozialgesetzbuch (SGB V):
Nadofaragen firadenovec (Harnblasenkarzinom)

Vom 1. Oktober 2026

Inhalt

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

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 3b Satz 9 SGB V kann der Gemeinsame Bundesausschuss (GBA) bei den folgenden Arzneimitteln vom pharmazeutischen Unternehmer innerhalb angemessener 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 (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

Mit dem vorliegenden Beschluss leitet der GBA ein Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung nach § 35a Absatz 3b Satz 1 SGB V zu dem Wirkstoff Nadofaragen firadenovec (Adstiladrin) ein.

Das Verfahren zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen gliedert sich nach 5. Kapitel § 51 Nummer 1 der Verfahrensordnung (VerfO) des GBA in

- a) die Beurteilung der Erforderlichkeit nach § 54,
- b) den verfahrenseinleitenden Beschluss nach § 55,
- c) die Vorbereitung eines Konzepts für die Anforderungen an eine anwendungsbegleitende Datenerhebung und von Auswertungen nach § 56 unter Beteiligung sachverständiger Stellen nach § 57,
- d) die Auswertung der Beteiligung der sachverständigen Stellen nach § 57 Absatz 5,
- e) den Beschluss des Plenums über die Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen nach § 58 vom pharmazeutischen Unternehmer

Die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen setzt nach 5. Kapitel § 54 Absatz 1 Satz 1 der VerfO voraus, dass die anwendungsbegleitende Datenerhebung zum Zweck der Nutzenbewertung eines Arzneimittels als erforderlich angesehen wird. Die Beurteilung der Erforderlichkeit erfolgt auf der Grundlage von Informationen zu diesem Arzneimittel, in der Regel insbesondere aus dem Zulassungsverfahren bei der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA), einer Recherche in Studienregistern nach laufenden oder abgeschlossenen Studien zu der betreffenden Indikation, einem Nutzenbewertungsverfahren des Gemeinsamen Bundesausschusses nach § 35a SGB V sowie weiteren Informationen zu klinischen Studien. Des Weiteren kann das IQWiG zur Vorbereitung der Entscheidung über die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung mit der Durchführung einer

systematischen Recherche nach Indikationsregistern sowie mit der Einschätzung der Patientenzahlen im zu beratenden Anwendungsgebiet beauftragt werden.

Der Wirkstoff Nadofaragen firadenovec (Adstiladrin) hat am 28. Mai 2026 eine bedingte Genehmigung für das Inverkehrbringen (Artikel 14-a der Verordnung (EG) Nummer 726/2004) für die Behandlung des nicht-muskelinvasiven Blasenkarzinoms von der europäischen Kommission (EC) erhalten.

Das zugelassene Anwendungsgebiet gemäß der Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels lautet: „Adstiladrin wird angewendet als Monotherapie zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit Bacillus-Calmette-Guérin (BCG)-unempfindlichem, nicht-muskelinvasivem Blasenkrebs (NMIBC) mit Carcinoma in situ (CIS) mit oder ohne papilläre Tumore“.

Die Beurteilung der Erforderlichkeit einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung erfolgte auf Grundlage der für die Zulassung berücksichtigten laufenden oder abgeschlossenen Studien zu Nadofaragen firadenovec.

Die Zulassung von Nadofaragen firadenovec basiert auf Daten der pivotalen offenen, einarmigen Phase III-Studie CS-003 (NCT02773849)¹. Somit liegen aus der Studie CS-003 keine vergleichenden Daten von Nadofaragen firadenovec gegenüber dem aktuellen Therapiestandard vor. Die Phase II-Studie ABLE-22 (NCT06545955)² ist randomisiert und dreiarstig, wobei in jedem Studienarm Nadofaragen firadenovec verabreicht wird. Im Rahmen der Verpflichtungen zur Durchführung von Maßnahmen nach der Zulassung soll der pharmazeutische Unternehmer den primären Studienreport der Studie ABLE-22 inklusive der Rate an komplettem Ansprechen zu Monat 3, sowie Daten zu Nebenwirkungen der Nadofaragene firadenovec Monotherapie (Arm 1) zur Bestätigung der Sicherheit und Wirksamkeit von Nadofaragene firadenovec bis 31. März 2029 vorlegen. Die Studie NCT01687244³ ist eine randomisierte Phase II- Studie, wobei in jedem Studienarm Nadofaragen firadenovec eingesetzt wird. Da in jedem Studienarm Nadofaragen firadenovec verabreicht wird, gehen aus den Studien ABLE-22 und NCT01687244 keine Daten zum Vergleich von Nadofaragen firadenovec gegenüber dem aktuellen Therapiestandard hervor. Zudem wurde die Studie NCT05704244⁴ identifiziert, die ein einarmiges Studiendesign ausschließlich an einem japanischen Studienkollektiv aufweist, weshalb keine vergleichenden Daten von Nadofaragen firadenovec gegenüber dem aktuellen Therapiestandard hervorgebracht werden. Darüber hinaus wurde die Studie ABLE-32 (NCT06510374 bzw. 2024-512029-10-00)^{5, 6} identifiziert. Bei dieser Studie handelt es sich um eine randomisierte, offene Phase-IIIb -Studie zum Vergleich von Nadofaragen firadenovec gegenüber beobachtendem Abwarten bei Patientinnen und Patienten mit intermediärem Risiko nach transurethraler Resektion des Blasentumors. Patientinnen und Patienten mit hohem und niedrigem Risiko sind von der Studie ausgeschlossen. Das beobachtende Abwarten stellt im deutschen Versorgungskontext derzeit keinen Therapiestandard dar, zudem entspricht die in die Studie eingeschlossene, auf intermediäres Risiko begrenzte Patientenpopulation nicht der Patientenpopulation laut zugelassenem Anwendungsgebiet.

1 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT02773849>

2 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06545955>

3 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT01687244>

4 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT05704244>

5 <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06510374>

6 <https://clinicaltrials.eu/trial/study-of-nadofaragene-firadenovec-for-adults-with-intermediate-risk-non-muscle-invasive-bladder-cancer/>

Darüber hinaus wurde die randomisierte kontrollierte offene Phase-III Studie COMPARE-IT (NCT06929286)⁷ identifiziert, welche Nadofaragen firadenovec gegenüber der intravesikalen Gabe von Gemcitabin gefolgt von Docetaxel vergleicht. Der Sponsor dieser Studie ist ein Krebszentrum in den USA. Die intravesikale Instillationstherapie mit Gemcitabin und Docetaxel stellt im deutschen Versorgungskontext derzeit keinen Therapiestandard dar. Daher gehen aus den Studien ABLE-32 und COMPARE-IT keine Daten zum Vergleich von Nadofaragen firadenovec gegenüber dem aktuellen deutschen Therapiestandard hervor.

Auf Basis dieser Datenlage ist davon auszugehen, dass zum jetzigen Zeitpunkt keine vergleichenden Daten für eine Behandlung mit Nadofaragen firadenovec gegenüber dem bestehenden Therapiestandard für die zugelassene Patientenpopulation vorliegen und dass unter Berücksichtigung der derzeitigen Studienplanungen keine Verbesserung der Evidenzlage erwartet werden kann. Daher hält der GBA es für erforderlich, durch die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung zu prüfen, inwieweit die Evidenzgrundlage für die Bewertung des Zusatznutzens des vorliegenden Arzneimittels durch die Erhebung von Daten aus der Versorgung verbessert werden kann.

Der GBA kann selbst ein Konzept für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung erstellen oder das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Erstellung eines Konzepts für eine anwendungsbegleitende Datenerhebung beauftragen. Die Vorbereitung eines Konzepts soll grundsätzlich einen Zeitraum von 6 Monaten nicht überschreiten. Im vorliegenden Fall wird das IQWiG mit der Erstellung des Konzepts beauftragt.

3. Bürokratiekostenermittlung

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

4. Verfahrensablauf

Zur Vorbereitung einer Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V hat der Unterausschuss Arzneimittel eine Arbeitsgruppe (AG Anwendungsbegleitende Datenerhebung (AbD)) beauftragt, die sich aus den von den Spitzenorganisationen der Leistungserbringer benannten Mitgliedern, der vom GKV-Spitzenverband benannten Mitglieder sowie Vertreter(innen) der Patientenorganisationen zusammensetzt. Darüber hinaus nehmen auch Vertreter(innen) des IQWiG an den Sitzungen teil.

Die Beschlussempfehlung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung wurde in der Sitzung des Unterausschusses am 22. September 2026 beraten und die Beschlussvorlage konsentiert.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 1. Oktober 2026 die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung gemäß § 35a Absatz 3b SGB V beschlossen.

⁷ <https://clinicaltrials.gov/study/NCT06929286?term=NCT06929286&rank=1>

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
AG AbD	3. April 2025 5. Juni 2025 3. Juli 2025 5. Februar 2026 5. März 2026 7. Mai 2026 3. September 2026	Beratung über die Einleitung eines Verfahrens zur Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen
Unterausschuss Arzneimittel	22. September 2026	Beratung und Konsentierung der Beschlussvorlage
Plenum	1. Oktober 2026	Beschlussfassung

Berlin, den 1. Oktober 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk