

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)

Belumosudil (Chronische Graft-versus-Host-Erkrankung
(cGvHD), ≥ 12 Jahre, ≥ 40 kg)

Vom 15. Oktober 2026

Inhalt

1.	Rechtsgrundlage.....	2
2.	Eckpunkte der Entscheidung	3
2.1	Zusatznutzen des Arzneimittels	3
2.1.1	Zugelassenes Anwendungsgebiet von Belumosudil (Rezurock) gemäß Fachinformation	3
2.1.2	Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise	4
2.1.3	Befristung und Geltungsdauer des Beschlusses.....	8
2.1.4	Kurzfassung der Bewertung	9
2.2	Anzahl der Patientinnen und Patienten bzw. Abgrenzung der für die Behandlung infrage kommenden Patientengruppen	10
2.3	Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	10
2.4	Therapiekosten	11
3.	Bürokratiekostenermittlung	13
4.	Verfahrensablauf	13

1. Rechtsgrundlage

Nach § 35a Absatz 1 SGB V bewertet der Gemeinsame Bundesausschuss (GBA) 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 in Verbindung mit 5. Kapitel §§ 5 ff. der Verfahrensordnung des GBA (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 GBA Nachweise gemäß 5. Kapitel § 5 Absatz 1 bis 6 VerfO, insbesondere zum medizinischen Zusatznutzen im Verhältnis zu der vom GBA 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 GBA, 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 GBA 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 GBA 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 GBA bewertet.

Dementsprechend hat der GBA 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 GBA 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 GBA über die Nutzenbewertung innerhalb von drei Monaten nach ihrer Veröffentlichung. Der Beschluss ist im Internet zu veröffentlichen und ist Teil der Arzneimittel-Richtlinie.

2. Eckpunkte der Entscheidung

Maßgeblicher Zeitpunkt für den Beginn des Nutzenbewertungsverfahrens ist gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 der Verfahrensordnung des G-BA (VerfO) das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Belumosudil am 1. Mai 2026 gewesen. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungsverordnung (AM-NutzenV) in Verbindung mit 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 VerfO am 30. April 2026 das abschließende Dossier beim G-BA eingereicht.

Belumosudil zur Behandlung der chronischen Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD) 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 GBA bewertet.

Der GBA 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 3. August 2026 zusammen mit der Bewertung des IQWiG auf den Internetseiten des GBA (www.g-ba.de) veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus eine mündliche Anhörung durchgeführt.

Der GBA hat seinen Beschluss auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom GBA durchgeführten Dossierbewertung, der vom IQWiG erstellten Bewertung der Therapiekosten und Patientenzahlen (IQWiG G26-10) und der im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen getroffen.

Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der GBA 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 Belumosudil nicht abgestellt.

2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Belumosudil (Rezurock) gemäß Fachinformation

REZUROCK wird angewendet für die Behandlung von Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden.

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

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 15. Oktober 2026):

Siehe zugelassenes Anwendungsgebiet

2.1.2 Ausmaß des Zusatznutzens und Aussagekraft der Nachweise

Erwachsene und Kinder (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Belumosudil wie folgt bewertet:

Anhaltspunkt für einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Begründung:

Für die Bewertung des Ausmaßes des Zusatznutzens von Belumosudil wurden vom pharmazeutischen Unternehmer die Ergebnisse der abgeschlossenen Zulassungsstudie ROCKstar (KD025-213) vorgelegt.

Bei der Studie ROCKstar handelt es sich um eine offene, randomisierte, nicht kontrollierte, multizentrische Phase-II-Studie zur Bewertung der Wirksamkeit und Sicherheit von Belumosudil bei Personen mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung nach mindestens 2 und höchstens 5 vorherigen systemischen Therapielinien. Vorausgesetzt waren u. a. eine stabile Glukokortikoid-Behandlung über mindestens 2 Wochen vor Screening, ein Karnofsky- bzw. Lansky-Performance-Status ≥ 60 sowie ausreichende Organ- und Knochenmarkfunktion.

Die Randomisierung erfolgte 1:1 auf Arm A (1 x 200 mg Belumosudil täglich) und Arm B (2 x 200 mg Belumosudil täglich). Als relevante Patientenpopulation wurde der Arm A der Studie ROCKstar (N = 77) für die Nutzenbewertung herangezogen. Die Patientinnen und Patienten dieser bewertungsrelevanten Population hatten vorwiegend eine moderate (25 %) bis schwere (73 %) cGvHD (gemäß National Institutes of Health (NIH)-Kriterien). Im Median waren 4 Organe betroffen, insbesondere die Haut (81,8 %), Gelenke und Faszien (76,6 %), Augen (72,7 %) und Mund (53,2 %). Etwa 65 % der Patientinnen und Patienten hatten zuvor eine akute GvHD.

Die Behandlung mit Belumosudil erfolgte bis zur klinisch signifikanten cGvHD-Progression mit Bedarf einer neuen systemischen cGvHD-Therapie, histologischem Rezidiv der Grunderkrankung, inakzeptabler Toxizität oder weiteren Gründen, die zum Abbruch führten, einschließlich einer administrativen Beendigungsregel, wonach die Patientinnen und Patienten nach 6-monatiger Behandlung mit Belumosudil in die Rollover-Studie KD025-217 überführt wurden.

Während der Belumosudil-Behandlung waren stabile systemische Standard-of-Care-Therapien (Calcineurin-Inhibitoren wie Tacrolimus oder Ciclosporin, aber auch Sirolimus, Mycophenolat-Mofetil, Methotrexat, Rituximab oder extrakorporale Photopherese) sowie Glukokortikoide und topische bzw. organspezifische cGvHD-Therapien erlaubt.

Die Studie ROCKstar wurde von 2018 bis 2023 in 34 Studienzentren in den USA durchgeführt.

Es liegen Ergebnisse zu Endpunkten der Mortalität, Morbidität und den Nebenwirkungen vor. Insgesamt 3 Datenschnitte wurden durchgeführt: Erster Datenschnitt (Primäranalyse) vom 19. Februar 2020, 2. Datenschnitt (finaler Erwachsenen-Datenschnitt) vom 1. September 2022 sowie 3. Datenschnitt (separater finaler Adoleszenten-Datenschnitt) vom 11. Dezember 2023.

Im Studienverlauf wurden insgesamt 3 Jugendliche eingeschlossen, von denen 1 Person dem bewertungsrelevanten Arm A zugeordnet war. Diesbezügliche Auswertungen finden sich im Adoleszenten-Datenschnitt vom 11.12.2023. Vor dem Hintergrund, dass die Ergebnisse dieses Datenschnitts nicht vorliegen, wird für die Nutzenbewertung ausschließlich der finale Erwachsenen-Datenschnitt vom 1. September 2022 herangezogen. Es liegen somit keine Daten zu Kindern und Jugendlichen vor.

Mortalität

In der Studie Rockstar traten 14 Todesfälle (18,2 %) auf.

Da keine geeigneten vergleichenden Daten vorliegen, lassen sich keine Aussagen zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

Morbidität

cGvHD-Ansprechen

In der Studie ROCKstar wurde das cGvHD-Ansprechen bzw. die Gesamtansprechrate (ORR) als primärer Endpunkt erhoben und ist definiert als Anteil der Patientinnen und Patienten mit einem kompletten Ansprechen (CR) oder partiellen Ansprechen (PR) zu irgendeinem Post-Baseline-Bewertungszeitpunkt, jeweils gegenüber Baseline (Zyklus 1, Tag 1). Ein CR bedeutet, dass alle Manifestationen der cGvHD in jedem betroffenen Organ bzw. an jeder betroffenen Stelle zurückgebildet sind. Ein PR bedeutet, dass sich mindestens ein Organ oder eine Stelle verbessert, ohne dass in einem anderen Organ oder an einer anderen Stelle eine Progression dokumentiert wird. Zudem legt der pharmazeutische Unternehmer als weitere Komponente des Ansprechens die Dauer des Ansprechens definiert als Zeit vom ersten dokumentierten Ansprechen bis zur ersten dokumentierten Verschlechterung gegenüber dem besten Ansprechen vor.

Im vorliegenden Anwendungsgebiet ist ein komplettes Ansprechen auf Basis der zugrunde liegenden Operationalisierung patientenrelevant. Entsprechend der Ausführungen der klinischen Experten im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens kann in der vorliegenden Therapiesituation darüber hinaus insbesondere auch ein partielles Ansprechen von Bedeutung für die Patientinnen und Patienten sein. Dies liege einerseits an der sehr heterogenen Ausprägung der cGvHD in teils mehreren Organen und damit verbunden einer grundsätzlich sehr heterogenen Ansprechrate, aber auch an teils nicht-reversiblen Schäden, die durch die cGvHD im vorherigen Therapieverlauf in einzelnen Organen entstanden sein können. Parameter der Lebensqualität und Symptomverbesserung seien entsprechend der Ausführungen der klinischen Experten deshalb besser geeignet, die Morbidität bei Patientinnen und Patienten mit cGvHD zu evaluieren.

In der Studie ROCKstar wurde eine Ansprechrate von 74 % erreicht, insgesamt 4 Patientinnen und Patienten erreichten darüber hinaus eine CR.

Das cGvHD-Ansprechen wurde in der Studie ROCKstar auf Basis der Konsensus-Kriterien der NIH für cGvHD (2014) erhoben. Basierend auf dieser Operationalisierung beruht die Ansprechbewertung auf einer prüfartzbasierten Erhebung mittels des cGvHD Activity Assessment for Clinician. Anschließend wurde separat für jeden Organ- und Funktionsbereich geprüft, ob eine Veränderung zu Baseline vorliegt und entsprechend eine CR oder PR abgeleitet. Limitationen ergeben sich beim partiellen Ansprechen insbesondere daraus, dass die Ansprechbewertung auf einer prüfartzbasierten Erhebung und Einordnung, zudem gegebenenfalls ausschließlich auf Basis von Laborparametern, beruht und damit nicht per se patientenrelevant ist.

Die ORR wird als primärer Endpunkt der Studie ergänzend dargestellt.

Unbenommen der Ausführungen zur Operationalisierung lässt sich anhand der Ergebnisse zum Endpunkt komplettes Ansprechen in der Studie ROCKstar keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens treffen, da keine geeigneten vergleichenden Daten vorliegen.

Lee-Symptom-Skala (LSS)

Die LSS ist ein Instrument zur Beurteilung der Symptomlast bei Erwachsenen mit cGvHD. Die Beeinträchtigung der Patientinnen und Patienten wird dabei durch Symptome der cGvHD anhand von 30 Items in 7 Domänen, einschließlich Haut (5 Items), Augen und Mund (6 Items), Atmung (5 Items), Ernährung und Verdauung (4 Items), Muskeln und Gelenke (4 Items), Energie (3 Items) sowie psychische und emotionale Symptome (3 Items) erfasst. Die Items werden patientenberichtet auf einer Likert-Skala von 0 bis 4 erhoben, wobei 0 „überhaupt nicht“ und 4 „extrem“ entspricht. Im Anschluss erfolgt eine Transformation auf eine Skala von 0 bis 100. Höhere Werte stehen für eine stärkere Symptomlast. Die Erhebung war gemäß Studienprotokoll an Tag 1 der Zyklen 2 bis 5, anschließend an Tag 1 jedes zweiten weiteren Zyklus sowie zum Behandlungsende vorgesehen.

Die LSS ist grundsätzlich geeignet, Beschwerden abzubilden, die im Alltag der Betroffenen relevant sein können und kann deshalb genutzt werden, patientenrelevante Veränderungen der Morbidität im Rahmen der Nutzenbewertung darzustellen.

Der pharmazeutische Unternehmer legt sowohl stetige Auswertungen zur Veränderung des Gesamtscores sowie der einzelnen Domänenscores zu Zyklus 5 als auch Responderanalysen vor. Hinsichtlich der Responderanalysen hat der pharmazeutische Unternehmer als klinisch bedeutsame Änderung eine Reduktion des Gesamtscores um mindestens 7 Punkte (entsprechend 7 % der Skalenspannweite) präspezifiziert und vorgelegt. Dieser Schwellenwert entspricht nicht der Responderschwelle von 15 % der Skalenspannweite gemäß aktuellem IQWiG-Methodenpapier und wird für die vorliegende Nutzenbewertung nicht herangezogen. Für die vorliegende Nutzenbewertung werden deshalb die stetigen Auswertungen des Gesamtscores betrachtet, da zu diesen belastbarere Validierungsevidenz vorliegt als für die Domänenscores.

Für den Gesamtscore zeigte sich zu Zyklus 5 eine mediane Veränderung von -4,4 Punkten und damit eine leichte Verbesserung gegenüber Baseline.

Unbenommen davon lässt sich anhand der Ergebnisse der Studie ROCKstar zum Endpunkt Lee-Symptom-Skala keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens treffen, da keine geeigneten vergleichenden Daten vorliegen.

Kortikosteroid-Absetzen

Für den Endpunkt Kortikosteroid-Absetzen legt der pharmazeutische Unternehmer den Anteil der Patientinnen und Patienten der Studie ROCKstar vor, die ein vollständiges Absetzen systemischer Kortikosteroide für mehr als 28 Tage, während der Belumosudil-Behandlung erreichten (gemäß statistischem Analyseplan, SAP). Im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens reicht der pharmazeutische Unternehmer zudem Angaben zur medianen Dauer der Kortikosteroidfreiheit (letztes dokumentiertes kortikosteroidfreies Intervall aller Patientinnen und Patienten, die dieses Ereignis erreichten), Auswertungen zur Kortikosteroidfreiheit über 6 und 12 Monate sowie Gründe für Zensierungen nach.

Systemische Kortikosteroide bilden die Basis der Erstlinientherapie bei moderater und schwerer cGvHD. Auch in den weiteren Therapielinien bleibt der Einsatz von Kortikosteroiden aufgrund ihrer breiten antiinflammatorischen Wirkung in der Regel Bestandteil der Therapie,

mit dem primären Ziel, die Kortikosteroiddosis möglichst gering zu halten und im Falle einer Remission vollständig abzusetzen. Auch die klinischen Experten bestätigten im Rahmen des Stellungnahmeverfahrens, dass angesichts der erheblichen Morbidität einer langfristigen Kortikosteroidtherapie eine nachhaltige Steroidreduktion ein relevantes Therapieziel bei der cGvHD darstellt. Das Absetzen von Kortikosteroiden über einen Zeitraum von 6 bzw. 12 Monaten kann patientenrelevant sein - vorliegend bleibt aber unklar, ob dieses Absetzen mit dem übergeordneten Ziel des Erreichens bzw. des Erhalts der Remission verbunden war.

In der Studie ROCKstar lag die Prednison-Äquivalent-Dosis von Kortikosteroiden zu Baseline im Mittel bei 0,21 mg/kg/Tag. Im Studienverlauf erreichten 27,3 Prozent der Patientinnen und Patienten ein Kortikosteroid-Absetzen entsprechend der Definition des pharmazeutischen Unternehmers. Von diesen erreichten 14 Patientinnen und Patienten ein Kortikosteroid-Absetzen für mindestens 6 Monate und 7 Patientinnen und Patienten für mindestens 12 Monate. Zu berücksichtigen ist, dass nach 6 Monaten lediglich 18 und nach 12 Monaten nur noch 10 Patientinnen und Patienten unter Risiko und vollständig beurteilbar waren. Im Median wurde eine kortikosteroidfreie Zeit von 8,54 Monaten bezogen auf alle Patientinnen und Patienten mit einem Kortikosteroid-Absetzen berichtet. Gleichzeitig wurde ein Großteil der Patientinnen und Patienten (72,7 %) zensiert, unter anderem aufgrund eines Behandlungsabbruchs oder dem Beginn einer neuen Therapie.

Unbenommen davon lässt sich anhand der Ergebnisse der Studie ROCKstar zum Endpunkt Kortikosteroid-Absetzen keine Aussage zum Ausmaß des Zusatznutzens treffen, da keine geeigneten vergleichenden Daten vorliegen.

In der Gesamtbetrachtung der Ergebnisse zur Morbidität lassen sich keine Aussagen zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten, da keine geeigneten vergleichenden Daten vorliegen.

Lebensqualität

Die Lebensqualität wurde in der Studie ROCKstar nicht erhoben.

Nebenwirkungen

Unerwünschte Ereignisse (UEs) gesamt

Bei fast allen in die Studie eingeschlossenen Patientinnen und Patienten (98,7 %) trat ein unerwünschtes Ereignis auf. Die Ergebnisse werden ergänzend dargestellt.

Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUEs)

Bei 36 Patientinnen und Patienten (46,8 %) trat mindestens ein schwerwiegendes unerwünschtes Ereignis (SUE) auf. Als häufigste SUE sind „Infektionen und parasitäre Erkrankungen“ zu nennen.

Schwere unerwünschte Ereignisse (CTCAE-Grad ≥ 3)

Bei 52 Patientinnen und Patienten (67,5 %) trat mindestens ein schweres unerwünschtes Ereignis mit CTCAE ≥ 3 auf. Die häufigsten UE mit einem Schweregrad ≥ 3 stellen „Infektionen und parasitäre Erkrankungen“, „Erkrankungen des Gastrointestinaltrakts“ sowie „Erkrankungen der Atemwege, des Brustraums und Mediastinums“ dar.

Abbruch aufgrund von UE

Bei 15 Patientinnen und Patienten (19,5 %) trat ein unerwünschtes Ereignis auf, das zum Abbruch der Behandlung mit Belumosudil führte.

In der Gesamtbetrachtung der Ergebnisse zu Nebenwirkungen lassen sich keine Aussagen zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten, da keine geeigneten vergleichenden Daten vorliegen.

Gesamtbewertung / Fazit

Grundlage für die Nutzenbewertung von Belumosudil zur Behandlung der chronischen GvHD bei Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden, sind die Ergebnisse zur Mortalität, zur Morbidität und zu Nebenwirkungen aus der nicht kontrollierten, offenen Studie ROCKstar.

Für die Nutzenbewertung herangezogen wurden die Endpunkte zum Gesamtüberleben, zur kompletten Remission, zur Lee-Symptom-Skala, zum Kortikosteroid-Absetzen sowie zu den Nebenwirkungen.

Da es sich um eine nicht kontrollierte Studie handelt, ist eine vergleichende Bewertung und damit eine Quantifizierung des Ausmaßes des Zusatznutzens auf Grundlage dieser Daten nicht möglich.

Aussagekraft der Nachweise

Bei der Studie ROCKstar handelt es sich um eine nicht kontrollierte Studie, somit liegen keine direkt vergleichenden Daten zu einer Kontrollgruppe vor. Die vorliegenden Daten erlauben demnach keine vergleichende Bewertung. Zudem liegen keine Daten für Kinder und Jugendliche vor.

Hieraus resultiert bezüglich der Aussagekraft der Nachweise ein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen.

2.1.3 Befristung und Geltungsdauer des Beschlusses

Die Befristung der Geltungsdauer des Beschlusses zur Nutzenbewertung von Belumosudil findet ihre Rechtsgrundlage in § 35a Absatz 3 Satz 4 SGB V. Danach kann der GBA die Geltung des Beschlusses über die Nutzenbewertung eines Arzneimittels befristen. Vorliegend ist die Befristung durch mit dem Sinn und Zweck der Nutzenbewertung nach § 35 a Absatz 1 SGB V in Einklang mit stehenden sachlichen Gründen gerechtfertigt.

Die Zulassungsbehörde European Medicines Agency (EMA) hat den pharmazeutischen Unternehmer als Auflage für die bedingte Zulassung von Belumosudil verpflichtet, eine randomisierte, kontrollierte Phase-III-Studie (EFC22965) von Belumosudil gegenüber der besten verfügbaren Therapie (Best Available Therapy, BAT) durchzuführen und die Wirksamkeit und Sicherheit von Belumosudil bei der Behandlung der cGvHD bei Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden, zu bestätigen. Die Ergebnisse der Studie EFC22965 sind der EMA bis zum 31. Dezember 2029 vorzulegen. Da diese Daten für die Bewertung des Zusatznutzens von Belumosudil relevant sein können, ist es gerechtfertigt, den Beschluss zeitlich zu befristen. Die Befristung ermöglicht eine Einbeziehung der erwarteten Ergebnisse aus der RCT-Studie in die Nutzenbewertung des Arzneimittels nach § 35a SGB V. Hierfür wird eine Befristung der Gültigkeit des Beschlusses bis zum 1. Januar 2031 als angemessen erachtet.

Auflagen der Befristung

Für die erneute Nutzenbewertung nach Fristablauf sollen im Dossier die für Ende 2029 erwarteten Studienergebnisse der seitens der EMA geforderten, randomisierten, kontrollierten Phase-III-Studie EFC22965 mit Belumosudil bei der Behandlung der cGvHD bei Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden, vorgelegt werden. Eine Abänderung der Frist kann grundsätzlich gewährt werden, sofern begründet und nachvollziehbar dargelegt wird, dass der Zeitraum der Befristung nicht ausreichend oder zu lang ist.

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

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

2.1.4 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung des neuen Arzneimittels Rezurock mit dem Wirkstoff Belumosudil. Belumosudil wurde als Orphan Drug unter besonderen Bedingungen zugelassen.

Das hier bewertete Anwendungsgebiet lautet: Behandlung von Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden.

Für die Nutzenbewertung legt der pharmazeutische Unternehmer die Ergebnisse der pivotalen, offenen, nicht kontrollierten Studie ROCKstar zur Mortalität, Morbidität und den Nebenwirkungen vor.

Die Endpunkte zum Gesamtüberleben, zur kompletten Remission, zur Lee-Symptom-Skala, zum Kortikosteroid-Absetzen sowie zu den Nebenwirkungen werden für die Nutzenbewertung herangezogen. Aufgrund fehlender vergleichender Daten lassen sich daraus keine Aussagen zum Ausmaß des Zusatznutzens ableiten.

Im Ergebnis wird daher für Belumosudil ein Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen festgestellt, weil die wissenschaftliche Datengrundlage eine Quantifizierung nicht zulässt.

Der Beschluss ist bis zum 1. Januar 2031 befristet.

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

Erwachsene und Kinder (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Erkrankung (cGvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden

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

Dem Beschluss werden die Angaben des pharmazeutischen Unternehmers aus dem Nutzenbewertungsdossier zugrunde gelegt. Die vom pharmazeutischen Unternehmer im Dossier vorgenommene Herleitung der Patientenzahl ist rechnerisch und methodisch nicht vollständig nachvollziehbar, da unter anderem relevante Angaben fehlen. Die Angaben des pharmazeutischen Unternehmers sind insgesamt unsicher.

Bezüglich des Anteils der Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre mit cGvHD ist von einer Unterschätzung auszugehen, da sich auf Basis der vom pharmazeutischen Unternehmer gewählten Operationalisierung der cGvHD Unsicherheiten hinsichtlich einer Abgrenzung zur akuten GvHD (aGvHD) ergeben können. Dies liegt grundsätzlich an einer teilweisen Überschneidung der klinischen Symptomatik sowie an der Tatsache, dass sich eine cGvHD aus einer aGvHD entwickeln kann. Eine Abgrenzung ist grundsätzlich schwierig.

Unsicherheiten ergeben sich zudem aus der Bestimmung des Anteils der Patientinnen und Patienten mit cGvHD, für die andere Therapieoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder bereits ausgeschöpft wurden. Diesen operationalisiert der pharmazeutische Unternehmer annäherungsweise durch den Anteil der Patientinnen und Patienten, die bereits eine extrakorporale Photopherese (ECP) erhalten haben. Die ECP stellt im vorliegenden Anwendungsgebiet eine nicht zugelassene Therapieoption dar, die sowohl als Prophylaxe einer GvHD als auch nach der Erst- oder Zweitlinie der Behandlung einer cGvHD zum Einsatz kommen kann. Folglich lässt sich auf Basis dieser Operationalisierung nicht auf Patientinnen und Patienten mit cGvHD schließen, für die andere Therapieoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder bereits ausgeschöpft wurden.

Letztlich bleibt unklar, welches Vorgehen der pharmazeutische Unternehmer zur Hochrechnung auf die deutsche Gesamtbevölkerung und die GKV-Zielpopulation zugrunde legt, da diesbezüglich nur unzureichende Angaben gemacht werden und insbesondere konkrete Rechnungen und Quellen nicht vorgelegt wurden. Auch die im Stellungnahmeverfahren zusätzlich vorgelegten Informationen des pharmazeutischen Unternehmers sind diesbezüglich nicht ausreichend.

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 Rezurock (Wirkstoff: Belumosudil) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 5. August 2026):

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

Die Einleitung und Überwachung der Therapie mit Belumosudil soll nur durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit chronischer Graft-versus-Host-Disease erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie sowie Fachärztinnen und Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit dem Schwerpunkt Pädiatrische Hämatologie und Onkologie erfolgen.

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

2.4 Therapiekosten

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

Erwachsene und Kinder (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Krankheit (chronische GvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden

Bezeichnung der Therapie	Behandlungsmodus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungsdauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Belumosudil	kontinuierlich, 1 x täglich	365,0	1	365,0

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.

Erwachsene und Kinder (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Krankheit (chronische GvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden

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					
Belumosudil	200 mg	200 mg	1 x 200 mg	365,0	365,0 x 200 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. Sofern Festbeträge in der Kostendarstellung abgebildet wurden, stellen diese ggf. nicht die günstigste verfügbare Alternative dar.

Kosten der Arzneimittel:

Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit chronischer Graft-versus-Host-Krankheit (chronische GvHD), wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden

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					
Belumosudil	30 FTA	14 469,19 €	1,77 €	823,00 €	13 644,42 €
Abkürzungen: FTA = Filmtabletten					

Stand Lauer-Taxe: 15. August 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.

Laut Fachinformation müssen Leberfunktionstests vor Therapiebeginn sowie mindestens monatlich während der gesamten Behandlung durchgeführt werden. In der Fachinformation werden hierzu keine weiteren konkretisierenden Angaben gemacht, weshalb die für die Leberfunktionstest notwendigen Kosten nicht zu beziffern sind.

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 30. April 2026 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Belumosudil beim G-BA eingereicht.

Die Nutzenbewertung des G-BA wurde am 3. August 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 24. August 2026.

Die mündliche Anhörung fand am 7. September 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 6. Oktober 2026 beraten und die Beschlussvorlage abschließend beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 15. Oktober 2026 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	Datum	Beratungsgegenstand
Unterausschuss Arzneimittel	28. Juli 2026	Kenntnisnahme der Nutzenbewertung des G-BA
AG § 35a	1. September 2026	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung

Unterausschuss Arzneimittel	7. September 2026	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	15. September 2026 29. September 2026	Beratung über die Dossierbewertung des G-BA, die Bewertung des IQWiG zu Therapiekosten und Patientenzahlen sowie die Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	6. Oktober 2026	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	15. Oktober 2026	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 15. Oktober 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenks