GBA
Gemeinsamer
Bundesausschuss

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)
Aficamten (Symptomatische hypertrophe obstruktive Kardiomyopathie, NYHA Klasse II–III)

Vom 19. November 2026

Inhalt

1. Rechtsgrundlage ... 2

2. Eckpunkte der Entscheidung ... 2

2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie ... 3

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Aficamten (Myqorzo) gemäß Fachinformation ... 3

2.1.2 Zweckmäßige Vergleichstherapie ... 3

2.1.3 Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens ... 6

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 ... 10

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. Hierzu gehört insbesondere die Bewertung des Zusatznutzens und seiner therapeutischen Bedeutung. Die Nutzenbewertung erfolgt aufgrund von Nachweisen des pharmazeutischen Unternehmers, die er einschließlich aller von ihm durchgeführten oder in Auftrag gegebenen klinischen Prüfungen spätestens zum Zeitpunkt des erstmaligen Inverkehrbringens als auch der Zulassung neuer Anwendungsgebiete des Arzneimittels an den GBA elektronisch zu übermitteln hat, und die insbesondere die folgenden Angaben enthalten müssen:

1. zugelassene Anwendungsgebiete,
2. medizinischer Nutzen,
3. medizinischer Zusatznutzen im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie,
4. Anzahl der Patienten und Patientengruppen, für die ein therapeutisch bedeutsamer Zusatznutzen besteht,
5. Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung,
6. Anforderung an eine qualitätsgesicherte Anwendung.

Der GBA kann das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung beauftragen. Die Bewertung ist nach § 35a Absatz 2 SGB V innerhalb von drei Monaten nach dem maßgeblichen Zeitpunkt für die Einreichung der Nachweise abzuschließen und im Internet zu veröffentlichen.

Nach § 35a Absatz 3 SGB V beschließt der 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 GBA (VerfO) das erstmalige Inverkehrbringen des Wirkstoffs Aficamten am 1. Juni 2026 gewesen. Der pharmazeutische Unternehmer hat gemäß § 4 Absatz 3 Nummer 1 der Arzneimittel-Nutzenbewertungs-verordnung (AM-NutzenV) i.V.m. 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 VerfO am 28. Mai 2026 das abschließende Dossier beim GBA eingereicht.

Der GBA hat das IQWiG mit der Bewertung des Dossiers beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 1. September 2026 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 seine Entscheidung zu der Frage, ob ein Zusatznutzen von Aficamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie festgestellt werden kann, auf der Basis des Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers, der vom IQWiG erstellten Dossierbewertung und der

hierzu im schriftlichen und mündlichen Anhörungsverfahren vorgetragenen Stellungnahmen getroffen. Um das Ausmaß des Zusatznutzens zu bestimmen, hat der GBA die Daten, die die Feststellung eines Zusatznutzens rechtfertigen, nach Maßgabe der in 5. Kapitel § 5 Absatz 7 VerfO festgelegten Kriterien im Hinblick auf ihre therapeutische Relevanz (qualitativ) bewertet. Auf die vom IQWiG vorgeschlagene Methodik gemäß den Allgemeinen Methoden[1] wurde in der Nutzenbewertung von Aficamten nicht abgestellt.

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

2.1 Zusatznutzen des Arzneimittels im Verhältnis zur zweckmäßigen Vergleichstherapie

2.1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet von Aficamten (Myqorzo) gemäß Fachinformation

MYQORZO wird angewendet zur Behandlung der symptomatischen (New York Heart Association, NYHA, Klasse II-III) hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie (HOCM) bei erwachsenen Patienten.

Anwendungsgebiet des Beschlusses (Beschluss vom 19.11.2026):

Siehe zugelassenes Anwendungsgebiet.

2.1.2 Zweckmäßige Vergleichstherapie

Die zweckmäßige Vergleichstherapie wurde wie folgt bestimmt:

Erwachsene mit symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie der NYHA Klasse II bis III

Zweckmäßige Vergleichstherapie für Aficamten:

- Mavacamten

Kriterien nach 5. Kapitel § 6 der Verfahrensordnung des GBA und § 6 Absatz 2 AM-NutzenV:

Die zweckmäßige Vergleichstherapie muss eine nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zweckmäßige Therapie im Anwendungsgebiet sein (§ 12 SGB V), vorzugsweise eine Therapie, für die Endpunktstudien vorliegen und die sich in der praktischen Anwendung bewährt hat, soweit nicht Richtlinien nach § 92 Absatz 1 SGB V oder das Wirtschaftlichkeitsgebot dagegensprechen.

Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie sind nach 5. Kapitel § 6 Absatz 3 VerfO insbesondere folgende Kriterien zu berücksichtigen:

1. Sofern als Vergleichstherapie eine Arzneimittelanwendung in Betracht kommt, muss das Arzneimittel grundsätzlich eine Zulassung für das Anwendungsgebiet haben.
2. Sofern als Vergleichstherapie eine nicht-medikamentöse Behandlung in Betracht kommt, muss diese im Rahmen der GKV erbringbar sein.

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

3. Als Vergleichstherapie sollen bevorzugt Arzneimittelanwendungen oder nicht-medikamentöse Behandlungen herangezogen werden, deren patientenrelevanter Nutzen durch den Gemeinsamen Bundesausschuss bereits festgestellt ist.
4. Die Vergleichstherapie soll nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse zur zweckmäßigen Therapie im Anwendungsgebiet gehören.

Gemäß § 6 Absatz 2 Satz 2 AM-NutzenV ist bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie auf die tatsächliche Versorgungssituation, wie sie sich ohne das zu bewertende Arzneimittel darstellen würde, abzustellen. Gemäß § 6 Absatz 2 Satz 3 AM-NutzenV kann der GBA als zweckmäßige Vergleichstherapie oder als Teil der zweckmäßigen Vergleichstherapie ausnahmsweise die zulassungsüberschreitende Anwendung von Arzneimitteln bestimmen, wenn er im Beschluss über die Nutzenbewertung nach § 7 Absatz 4 feststellt, dass diese nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse im zu bewertenden Anwendungsgebiet als Therapiestandard oder als Teil des Therapiestandards in der Versorgungssituation, auf die nach Satz 2 abzustellen ist, gilt und

1. erstmals mit dem zu bewertenden Arzneimittel ein im Anwendungsgebiet zugelassenes Arzneimittel zur Verfügung steht,
2. die zulassungsüberschreitende Anwendung nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse den im Anwendungsgebiet bislang zugelassenen Arzneimitteln regelhaft vorzuziehen ist oder
3. die zulassungsüberschreitende Anwendung nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse für relevante Patientengruppen oder Indikationsbereiche den im Anwendungsgebiet bislang zugelassenen Arzneimitteln regelhaft vorzuziehen ist.

Eine zweckmäßige Vergleichstherapie kann auch eine nichtmedikamentöse Therapie, die bestmögliche unterstützende Therapie einschließlich einer symptomatischen oder palliativen Behandlung oder das beobachtende Abwarten sein.

<u>Begründung auf Basis der Kriterien nach 5. Kapitel § 6 Absatz 3 VerfO und § 6 Absatz 2 AM-NutzenV:</u>

zu 1. Neben dem zu bewertenden Wirkstoff Aficamten sind die Wirkstoffe Mavacamten und Propranolol zur Behandlung der symptomatischen hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie bei Erwachsenen zugelassen.

zu 2. Eine nicht-medikamentöse Behandlung kommt in der zu bewertenden Indikation als zweckmäßige Vergleichstherapie nicht in Betracht.

zu 3. Im hier zu betrachtenden Anwendungsgebiet liegt folgender Beschluss zur Nutzenbewertung nach § 35a SGB V vor:

- Mavacamten: Beschluss vom 1. Februar 2024.

zu 4. Der allgemein anerkannte Stand der medizinischen Erkenntnisse wurde durch eine systematische Recherche nach Leitlinien sowie systematischen Übersichtsarbeiten zu klinischen Studien in der vorliegenden Indikation abgebildet und ist in der „Recherche und Synopse der Evidenz zur Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie nach § 35a SGB V“ dargestellt.

Zu Fragen der Vergleichstherapie in der vorliegenden Indikation wurden zudem, gemäß § 35a Abs. 7 SGB V, die wissenschaftlich-medizinischen Fachgesellschaften und die Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ) schriftlich beteiligt.

Zur Behandlung der symptomatischen hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie (HOCM) sind der Myosininhibitor Mavacamten und der Betarezeptorenblocker Propranolol zugelassen.

Gemäß Leitlinien wird die medikamentöse Therapie der HOCM mit nicht-vasodilatierenden Betablockern begonnen. Sofern diese nicht ausreichend sind oder nicht vertragen werden, wird der Einsatz der Calciumkanalblocker Verapamil oder Diltiazem empfohlen. Bei anhaltender Symptomatik unter Betablockern oder Calciumkanalblockern soll eine Intensivierung der Therapie durch die additive Gabe des Myosininhibitors Mavacamten erfolgen.

Für die Anwendung von nicht-vasodilatierenden Betablockern und Calciumkanal-blockern besteht im vorliegenden Anwendungsgebiet jedoch keine Zulassung. Zwar ist der Betablocker Propranolol für die Behandlung der hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie zugelassen, jedoch wirkt dieser nicht kardioselektiv und spielt in der klinischen Praxis im Vergleich zu den kardioselektiven und nicht zugelassenen Betablockern, z. B. Bisoprolol oder Metoprolol, nur eine untergeordnete Rolle.

Insgesamt ist die Datenlage hinsichtlich der Empfehlung für die zulassungsüber-schreitende Anwendung von Betablockern und Calciumkanalblockern eingeschränkt. Im Gegensatz dazu ist der Wirkstoff Mavacamten für die Behandlung der symptomatischen hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie zugelassen. Zudem wurde im Rahmen der Nutzenbewertung ein Anhaltspunkt für einen beträchtlichen Zusatznutzen von Mavacamten gegenüber der zum Zeitpunkt des Beschlusses benannten zweckmäßigen Vergleichstherapie, einer Therapie nach ärztlicher Maßgabe, die nicht-vasodilatierende Betablocker, Verapamil und Diltiazem umfasste, festgestellt.

In der Gesamtschau bestimmt der GBA den Wirkstoff Mavacamten als zweckmäßige Vergleichstherapie für Aficamten zur Behandlung von Erwachsenen mit symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie.

Es wird vorausgesetzt, dass etwaige Begleiterkrankungen oder -symptome adäquat behandelt werden.

Die hierzu in der Anlage XII getroffenen Feststellungen schränken den zur Erfüllung des ärztlichen Behandlungsauftrags erforderlichen Behandlungsspielraum nicht ein.

Eine Änderung der zweckmäßigen Vergleichstherapie bedarf einer an die vorherige Prüfung der Kriterien nach 5. Kapitel § 6 Absatz 3 VerfO geknüpften Entscheidung des GBA.

2.1.3 Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

Zusammenfassend wird der Zusatznutzen von Aficamten wie folgt bewertet:

Erwachsene mit symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie der NYHA Klasse II bis III

Ein Zusatznutzen ist nicht belegt

Begründung:

Direkt vergleichende Studien von Aficamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Mavacamten liegen nicht vor. Daher legt der pharmazeutische Unternehmer einen adjustierten indirekten Vergleich von Aficamten gegenüber Mavacamten nach dem Verfahren von Bucher et al. über den Brückenkomparator Placebo vor. Aufseiten der Intervention zieht er die Studie SEQUOIA-HCM und aufseiten der zweckmäßigen Vergleichstherapie die Studie EXPLORER-HCM heran. Beide Studien wurden als randomisierte, doppelblinde, kontrollierte, multizentrische Phase-III-Studien durchgeführt.

Studie SEQUOIA-HCM (Studie mit Aficamten)

In die Studie SEQUOIA-HCM wurden 282 Erwachsene mit symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie (HOCM) der NYHA Klasse II bis III eingeschlossen, die eine linksventrikuläre Ejektionsfraktion (LVEF) ≥ 60 % aufwiesen. Ausgeschlossen von der Studie waren u. a. Erwachsene mit anderen Erkrankungen, die eine Herzhypertrophie verursachen, welche einer HOCM ähnelt.

Die Studienteilnehmenden wurden im Verhältnis 1:1 einer Behandlung mit Aficamten (N = 142) gegenüber Placebo (N = 140) randomisiert zugeteilt. Die Randomisierung erfolgte stratifiziert nach dem Kriterium einer Behandlung mit Betablockern als HOCM-Begleittherapie (ja versus nein) und nach dem Typ der kardiopulmonalen Belastungsuntersuchung (Laufband versus Fahrradergometer). Die Behandlung mit der Prüfmedikation erfolgte in der Studie über einen Zeitraum von 24 Wochen, daran schloss sich eine 4-wöchige Nachbeobachtung an.

Al primärer Endpunkt der Studie wurde die Änderung der maximalen Sauerstoffaufnahme (pVO_2) zum Behandlungsende definiert, die mittels kardiopulmonaler Belastungs-untersuchung erhoben wurde.

Studie EXPLORER-HCM (Studie mit Mavacamten)

In die Studie EXPLORER-HCM wurden Erwachsene mit HOCM der NYHA-Klassen II oder III mit einer LVEF ≥ 55 % eingeschlossen. Ausgeschlossen von der Studie waren u. a. Erwachsene mit anderen Erkrankungen, die eine Herzhypertrophie verursachen, welche einer HOCM ähnelt.

In die Studie wurden 251 Patientinnen und Patienten eingeschlossen und im Verhältnis 1:1 einer Behandlung mit Mavacamten (N = 123) gegenüber Placebo (N = 128) zugeteilt. Die Randomisierung erfolgte stratifiziert nach den Kriterien NYHA-Klasse (II versus III), Behandlung mit Betablockern als HOCM-Begleittherapie (ja versus nein), Typ der kardiopulmonalen Belastungsuntersuchung (Laufband versus Fahrradergometer) und Einwilligung zu einer Magnetresonanz-Substudie (ja versus nein).

Das Design der Studie umfasste eine 30-wöchige Behandlungsphase, an die sich eine 8-wöchige Nachbeobachtung anschloss. Primärer Endpunkt der Studie war der kombinierte Endpunkt klinisches Ansprechen.

Zum adjustierten indirekten Vergleich

Insgesamt weisen die Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM ein weitgehend vergleichbares Studiendesign mit jeweils dem Einsatz von Placebo im Vergleichsarm auf. Zwar unterscheiden sich die Behandlungsdauer und die Studiendauer zwischen beiden Studien um 6 Wochen bzw. 10 Wochen, jedoch stellen diese Unterschiede die Vergleichbarkeit der Studien für den adjustierten indirekten Vergleich grundsätzlich nicht infrage. Zudem sind die demographischen und klinischen Charakteristika der eingeschlossenen Personen sowie die eingesetzten medikamentösen Therapien als Begleitbehandlung der HOCM zwischen den Studien hinreichend vergleichbar.

Zusammenfassend wird von einer hinreichenden Ähnlichkeit der Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM ausgegangen, so dass der vorgelegte adjustierte indirekte Vergleich über den Brückenkomparator Placebo für die Bewertung des Zusatznutzens von Aficamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Mavacamten herangezogen wird.

Ausmaß und Wahrscheinlichkeit des Zusatznutzens

Mortalität

Die Mortalität wurde in beiden Studien im Rahmen der tödlich verlaufenden unerwünschten Ereignisse erhoben. In der Studie SEQUOIA-HCM trat kein Todesfall auf. In der Studie EXPLORER-HCM trat ein Todesfall im Placeboarm auf.

Morbidität

Maximale Belastungszeit

Die Durchführung der kardiopulmonalen Belastungsuntersuchungen (CPET) mit ansteigender Belastung auf dem Laufband oder Fahrradergometer unterschied sich zwischen den Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM deutlich. Aufgrund der unterschiedlichen Protokolle der CPET, der unterschiedlichen Kriterien für die maximale Belastung sowie der fehlenden Informationen hinsichtlich der Art der Belastungssteigerung ist eine hinreichende Vergleichbarkeit des Endpunkts „maximale Belastungszeit“ nicht gegeben. Die vorliegenden Ergebnisse zu diesem Endpunkt werden daher nicht für die Nutzenbewertung herangezogen.

Belastungsempfinden

Der Endpunkt Belastungsempfinden, erhoben mittels RPE-Skala nach Borg, wurde in der Studie SEQUOIA-HCM nicht erhoben. Somit liegen zu diesem Endpunkt keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich vor.

Symptomatik

Endpunkte zur Symptomatik, erhoben mittels Hypertrophic Cardiomyopathy Symptom Questionnaire (HCMSQ), Patient Global Impression of Change (PGIC) und Patient Global Impression of Severity (PGIS), wurden in der Studie SEQUOIA-HCM nicht erhoben. Somit liegen keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich zur Bewertung der Symptomatik der Patientinnen und Patienten vor.

Gesundheitszustand

Visuelle Analogskala des Fragebogens EQ-5D (EQ-5D VAS)

Der Gesundheitszustand wurde in den Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM mittels EQ-5D VAS erhoben. Aufgrund von Unterschieden im endpunktspezifischen Verzerrungspotenzial zwischen den Studien, die zu unterschiedlicher Einschätzung hinsichtlich der Aussagesicherheit der Ergebnisse bei diesem Endpunkt führen, liegen keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich vor.

Patient Global Impression of Change (PGIC)

Der PGIC erfasst anhand einer einzelnen Frage die von den Patientinnen und Patienten wahrgenommene Veränderung der Symptomlast bzw. des Gesundheitszustandes im Vergleich zum Beginn der Studienmedikation. Die Formulierung dieser Frage lautete in der Studie SEQUOIA-HCM *„Since the start of the study, my overall status is:“*. Die Erhebung des PGIC erfolgte nur zu Woche 24. Im Gegensatz dazu war die entsprechende Formulierung in der Studie EXPLORER-HCM: *„Overall, how would you rate the change in your hypertrophic cardiomyopathy symptoms since you started the study?“*. Die Erhebung des PGIC erfolgte zu verschiedenen Zeitpunkten und damit deutlich häufiger als in der Studie SEQUOIA-HCM.

Zusammenfassend ist die Formulierung der Frage beim PGIC zwischen den Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM nicht vergleichbar. Während in der Studie SEQUOIA-HCM eine Veränderung des allgemeinen Gesundheitsstatus abgefragt wurde, wurde in der Studie EXPLORER-HCM nach der Veränderung der Symptomatik der HOCM gefragt. Es liegen somit keine geeigneten Daten für einen adjustierten indirekten Vergleich für den über den PGIC erfassten Gesundheitszustand vor.

Lebensqualität

Kansas City Cardiomyopathie Questionnaire-Overall Summary Score (KCCQ-OSS)

Die gesundheitsbezogene Lebensqualität wurde in den Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM mittels KCCQ-OSS erhoben. Der KCCQ ist ein krankheitsspezifischer Fragebogen zur Erhebung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität bei Patientinnen und Patienten mit Kardiomyopathie, der durch die Betroffenen selbst ausgefüllt wird.

Aufgrund von Unterschieden im endpunktspezifischen Verzerrungspotenzial zwischen den Studien, die zu unterschiedlicher Einschätzung hinsichtlich der Aussagesicherheit der Ergebnisse zu KCCQ-OSS führen, liegen keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich vor.

Nebenwirkungen

Schwerwiegende unerwünschte Ereignisse (SUE), Abbruch wegen unerwünschter Ereignisse, Spezifische unerwünschte Ereignisse

Die Nebenwirkungen wurden in den Studien SEQUOIA-HCM und EXPLORER-HCM unterschiedlich erfasst. In der Studie SEQUOIA-HCM wurden Nebenwirkungen unabhängig davon erfasst, ob sie im Zusammenhang mit der Grunderkrankung standen. Erkrankungsbezogene Ereignisse waren somit in den Nebenwirkungen enthalten. Im Gegensatz dazu wurden Progression, Zeichen oder Symptome der untersuchten Erkrankung in der Studie EXPLORER-HCM nicht als UE erfasst, es sei denn, diese waren schwerwiegender als es für den Zustand der Studienteilnehmerin oder des Studienteilnehmers zu erwarten gewesen wäre. Aufgrund der unterschiedlichen Operationalisierung werden die Ergebnisse zu

den Gesamtraten der SUE, Abbruch wegen UE und des spezifischen UE „Störung in der Systole (PT, SUE)“ nicht für die Nutzenbewertung herangezogen.

Gesamtbewertung

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Aficamten zur Behandlung der symptomatischen hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie der NYHA-Klasse II bis III wurde ein adjustierter indirekter Vergleich nach dem Verfahren von Bucher vorgelegt. Für den indirekten Vergleich von Aficamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Mavacamten wurden die placebokontrollierten Studien SEQUOIA-HCM zu Aficamten gegenüber der Studie EXPLORER-HCM zu Mavacamten über den Brückenkomparator Placebo vorgelegt. Der indirekte adjustierte Vergleich wird für die Nutzenbewertung herangezogen.

In der Studie SEQUOIA-HCM trat kein Todesfall auf. In der Studie EXPLORER-HCM trat ein Todesfall im Placeboarm auf.

In der Endpunktkategorie Morbidität liegen für die eingeschlossenen Endpunkte keine geeigneten Daten für den adjustierten indirekten Vergleich vor.

In der Endpunktkategorie gesundheitsbezogene Lebensqualität, erhoben mittels KCCQ-OSS, liegen keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich vor.

In der Endpunktkategorie Nebenwirkungen liegen für die Endpunkte SUE und Abbruch wegen UE jeweils keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich vor.

In der Gesamtschau ergeben sich auf Basis des indirekten adjustierten Vergleichs keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen Aficamten und Mavacamten. Der Zusatznutzen von Aficamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Mavacamten ist somit nicht belegt.

2.1.4 Kurzfassung der Bewertung

Bei der vorliegenden Bewertung handelt es sich um die Nutzenbewertung des neuen Arzneimittels MYQORZO mit dem Wirkstoff Aficamten, zugelassen zur Behandlung der symptomatischen hypertrophen obstruktiven Kardiomyopathie der NYHA-Klasse II bis III bei Erwachsenen.

Als zweckmäßige Vergleichstherapie wurde Mavacamten vom GBA bestimmt.

Für die Bewertung des Zusatznutzens wurde ein adjustierter indirekter Vergleich nach dem Verfahren von Bucher auf Grundlage der placebokontrollierten Studien SEQUOIA-HCM zu Aficamten gegenüber der Studie EXPLORER-HCM zu Mavacamten über den Brückenkomparator Placebo vorgelegt. Der adjustierte indirekte Vergleich wird für die Nutzenbewertung herangezogen.

In der Mortalität ergeben sich keine relevanten Unterschiede zwischen Aficamten und Mavacamten.

In den weiteren Endpunktkategorien Morbidität, gesundheitsbezogene Lebensqualität und Nebenwirkungen liegen keine geeigneten Daten für den indirekten Vergleich vor.

In der Gesamtschau ergeben sich auf Basis des indirekten adjustierten Vergleichs keine statistisch signifikanten Unterschiede zwischen Aficamten und Mavacamten. Der Zusatznutzen von Aficamten gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Mavacamten ist somit nicht belegt.

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

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

Dem Beschluss werden die im Dossier des pharmazeutischen Unternehmers angegebenen Patientenzahlen zugrunde gelegt, die aus dem vorangegangenen Nutzenbewertungsverfahren zu Mavacamten aus dem Jahr 2024 übernommen wurden. Die dort angegebenen Patientenzahlen sind insgesamt mit Unsicherheit behaftet. Unter anderem führt die Ermittlung der Fallzahlen auf Grundlage mehrerer, zum Teil unspezifischer ICD-Codes zur Kardiomyopathie sowohl zu unterschätzenden als auch zu überschätzenden Faktoren der Patientenzahlen. Eine Quantifizierung des Ausmaßes dieser gegenläufigen Effekte ist nicht möglich. Darüber hinaus ist die Eignung der zur Schätzung des Anteils der Patientinnen und Patienten mit NYHA Klasse II und III herangezogenen Publikation aufgrund einer gegenüber der Zielpopulation abweichenden Studienpopulation fraglich.

Basierend auf der Annahme einer ansteigenden Prävalenz ist davon auszugehen, dass die Fallzahlen für das aktuelle Jahr höher liegen als die angegebenen Schätzungen, welche auf Daten aus dem Jahr 2019 beruhen.

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 Myqorzo (Wirkstoff: Aficamten) unter folgendem Link frei zugänglich zur Verfügung (letzter Zugriff: 5. Oktober 2026):

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

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Aficamten muss durch in der Therapie von Patientinnen und Patienten mit hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie erfahrene Fachärztinnen und Fachärzte erfolgen.

Vor Einleitung der Therapie mit Aficamten ist eine Echokardiographie durchzuführen und zu bestätigen, dass die linksventrikuläre Ejektionsfraktion (LVEF) der Patientinnen und Patienten mindestens 55 % beträgt.

2.4 Therapiekosten

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

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.

Erwachsene mit symptomatischer hypertropher obstruktiver Kardiomyopathie der NYHA Klasse II bis III

Behandlungsdauer:

Bezeichnung der Therapie	Behandlungs-modus	Anzahl Behandlungen/ Patientin bzw. Patient/Jahr	Behandlungs-dauer/ Behandlung (Tage)	Behandlungs-tage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr
Zu bewertendes Arzneimittel				
Aficamten	kontinuierlich, 1 x täglich	365,0	1	365,0
Zweckmäßige Vergleichstherapie				
Mavacamten	kontinuierlich, 1 x täglich	365,0	1	365,0

Verbrauch:

Bezeichnung der Therapie	Dosierung/ Anwendung	Dosis/ Patientin bzw. Patient/ Behand-lungstage	Verbrauch nach Wirkstärke/ Behandlungs-tag	Behand-lungstage/ Patientin bzw. Patient/ Jahr	Jahresdurch-schnitts-verbrauch nach Wirkstärke
Zu bewertendes Arzneimittel					
Aficamten	5 mg – 20 mg	5 mg – 20 mg	1 x 5 mg – 1 x 20 mg	365,0	1 x 5 mg – 1 x 20 mg
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Mavacamten	2,5 mg – 15 mg	2,5 mg – 15 mg	1 x 2,5 mg – 1 x 15 mg	365,0	1 x 2,5 mg – 1 x 15 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:

Bezeichnung der Therapie	Packungs-größe	Kosten (Apotheken abgabe-preis)	Rabatt § 130 SGB V	Rabatt § 130a SGB V	Kosten nach Abzug gesetzlich vorgeschrie-bener Rabatte
Zu bewertendes Arzneimittel					
Aficamten 5 mg	98 FTA	5 824,32 €	1,77 €	329,29 €	5 493,26 €
Aficamten 20 mg	98 FTA	5 824,32 €	1,77 €	329,29 €	5 493,26 €
Zweckmäßige Vergleichstherapie					
Mavacamten 2,5 mg	98 HKP	6 002,66 €	1,77 €	339,48 €	5 661,41 €
Mavacamten 15 mg	98 HKP	6 002,66 €	1,77 €	339,48 €	5 661,41 €
Abkürzungen: FTA = Filmtabletten; HKP = Hartkapseln;					

Stand Lauer-Taxe: 15. September 2026

Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen:

Es werden nur direkt mit der Anwendung des Arzneimittels unmittelbar in Zusammenhang stehende Kosten berücksichtigt. Sofern bei der Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie entsprechend der Fachinformation regelhaft Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen bestehen, sind die hierfür anfallenden Kosten als Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zu berücksichtigen.

Ärztliche Behandlungskosten, ärztliche Honorarleistungen, sowie für Routineuntersuchungen (z. B. regelhafte Laborleistungen wie Blutbilduntersuchungen) anfallende Kosten, die nicht über den Rahmen der üblichen Aufwendungen im Verlauf der Behandlung hinausgehen, werden nicht abgebildet.

Bestimmung der linksventrikulären Ejektionsfraktion (LVEF) mittels Echokardiographie

Für Patientinnen und Patienten, die mit den Wirkstoffen Aficamten bzw. Mavacamten behandelt werden, ist vor Behandlungsbeginn die linksventrikuläre Ejektionsfraktion (LVEF) mittels Echokardiographie zu bestimmen. Da bei der Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie entsprechend der Fachinformation keine regelhaften Unterschiede bei der notwendigen Inanspruchnahme ärztlicher Behandlung oder bei der Verordnung sonstiger Leistungen bestehen, sind keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen zu berücksichtigen.

CYP2C19-Genotypisierung

Für den Wirkstoff Mavacamten fallen gemäß Fachinformation regelhaft Kosten zur Durchführung einer CYP2C19-Genotypisierung an, um die patientenindividuelle Dosierung von Mavacamten bestimmen und eine Überdosierung vermeiden zu können.

Für die Berechnung der zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen werden in Vertrieb befindliche Packungen mit dem Stand der Lauer-Taxe vom 15. September 2025 sowie Gebührenordnungspositionen (GOP) mit dem Stand des 3. Quartals 2025 des einheitlichen Bewertungsmaßstabes (EBM 2025/Q3) zugrunde gelegt.

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Leistung	Anzahl	Kosten pro Einheit	Kosten/ Person/Jahr
Zweckmäßige Vergleichstherapie				
Mavacamten	Genotypisierung zur Bestimmung des CYP2C19-Metabolisierungs-status vor der Gabe von Mavacamten bei symptomatischer HOCM (NYHA-Klasse II≥III) (GOP: 32869)	1	82,00 €	82,00 €

3. Bürokratiekostenermittlung

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

4. Verfahrensablauf

Der Unterausschuss Arzneimittel hat in seiner Sitzung am 7. Januar 2025 die zweckmäßige Vergleichstherapie bestimmt.

Am 28. Mai 2026 hat der pharmazeutische Unternehmer gemäß 5. Kapitel § 8 Absatz 1 Nummer 1 Satz 2 VerfO fristgerecht ein Dossier zur Nutzenbewertung von Aficamten beim GBA eingereicht.

Der GBA hat das IQWiG mit Schreiben vom 29. Mai 2026 in Verbindung mit dem Beschluss des GBA vom 1. August 2011 über die Beauftragung des IQWiG hinsichtlich der Bewertung des Nutzens von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen gemäß § 35a SGB V mit der Bewertung des Dossiers zum Wirkstoff Aficamten beauftragt.

Die Dossierbewertung des IQWiG wurde dem GBA am 27. August 2026 übermittelt und mit der Veröffentlichung am 1. September 2026 auf den Internetseiten des GBA das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Die Frist zur Abgabe von Stellungnahmen war der 22. September 2026.

Die mündliche Anhörung fand am 5. Oktober 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 10. November 2026 beraten und die Beschlussvorlage abschließend beraten.

Das Plenum hat in seiner Sitzung am 19. November 2026 die Änderung der Arzneimittel-Richtlinie beschlossen.

Zeitlicher Beratungsverlauf

Sitzung	**Datum**	**Beratungsgegenstand**
Unterausschuss Arzneimittel	7. Januar 2025	Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapie
AG § 35a	30. September 2026	Information über eingegangene Stellungnahmen, Vorbereitung der mündlichen Anhörung
Unterausschuss Arzneimittel	5. Oktober 2026	Durchführung der mündlichen Anhörung
AG § 35a	14. Oktober 2026 4. November 2026	Beratung über die Dossierbewertung des IQWiG, Auswertung des Stellungnahmeverfahrens
Unterausschuss Arzneimittel	10. November 2026	Abschließende Beratung der Beschlussvorlage
Plenum	19. November 2026	Beschlussfassung über die Änderung der AM-RL

Berlin, den 19. November 2026

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Die Vorsitzende

Dr. Optendrenk