GBA
Gemeinsamer
Bundesausschuss

Mündliche Anhörung

gemäß § 35 a Abs. 3 Satz 2 SGB V
des Gemeinsamen Bundesausschusses

hier: Selpercatinib (D-1331)

Sitzung im Hause des Gemeinsamen Bundesausschusses in Berlin
am 26. Oktober 2026
von 11:00 Uhr bis 11:16 Uhr

– Stenografisches Wortprotokoll –

Angemeldete Teilnehmende der Firma **Lilly Deutschland GmbH**:

Frau Prof. Dr. Kretschmer

Herr Dr. Mattern

Herr Dr. Kiesel

Angemeldeter Teilnehmender der **Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie (DGHO)**:

Herr Prof. Dr. Wörmann

Angemeldete Teilnehmende der **Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie (GPOH)**:

Frau Prof. Dr. Redlich

Angemeldeter Teilnehmender des **Verbandes Forschender Arzneimittelhersteller e. V. (vfa)**:

Herr Herden

Beginn der Anhörung: 11:00 Uhr

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Meine sehr verehrten Damen und Herren! Herzlich willkommen im Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses! Ich begrüße Sie zur Anhörung zum Wirkstoff Selpercatinib zur Behandlung von pädiatrischen Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren. Es handelt sich um die Bewertung eines neuen Anwendungsgebiets.

Basis der heutigen Anhörung sind das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers und die Nutzenbewertung des IQWiG vom 10. September 2026. Wir haben Stellungnahmen erhalten vom pharmazeutischen Unternehmer Lilly Deutschland, von der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie gemeinsam mit der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie sowie eine Stellungnahme vom vfa.

Ich muss zunächst die Anwesenheit feststellen, da wir heute wieder ein Wortprotokoll führen. Für den pharmazeutischen Unternehmer Lilly Deutschland müssten anwesend sein Frau Professor Dr. Kretschmer, Herr Dr. Mattern und Herr Dr. Kiesel, für die Deutsche Gesellschaft für Hämatologie und Medizinische Onkologie Herr Professor Dr. Wörmann, für die Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie Frau Professor Dr. Redlich sowie für den Verband Forschender Arzneimittelhersteller Herr Herden. Ist noch jemand in der Leitung, der nicht aufgerufen wurde? – Das ist erkennbar nicht der Fall.

Ich glaube, wir haben noch einige Verzögerungsprobleme bei Lilly Deutschland, weil zwischendurch immer Brocken hereinkommen. Das scheint mir eine Verzögerung zu sein. Frau Professor Kretschmer, Sie hätten jetzt das Wort zur Einleitung.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Sie ist noch stumm.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Wir sehen Sie, Frau Professor Kretschmer, aber Sie sind noch stumm. Sie versuchen wieder, Ihre technischen Probleme zu adressieren. Es ist heute etwas schwierig.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Hören Sie mich jetzt?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Jetzt hören wir Sie. Versuchen Sie es.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Wenn nicht, wähle ich mich über das Handy ein. Ich weiß nicht, was heute los ist. Wir haben den Rechner neu gebootet. Irgendetwas scheint im Haus … (akustisch unverständlich) Ich versuche mein Glück. – In der zweiten Anhörung heute steht die Zulassung von Selpercatinib für RET-positive solide Tumoren bei Kindern ab zwei Jahren zur Diskussion. Voraussetzung ist auch hier das Vorliegen einer RET-Genveränderung … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Frau Professor Kretschmer, ich glaube, Sie müssen es tatsächlich über das Handy versuchen, weil Sie sich überschlagen. Das ist nicht Ihre Art, das liegt wohl an der Technik.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Okay.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Test. Hören Sie uns … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Wir hören Sie jetzt fünfmal. Ich glaube, das wird mit Ihrer Anlage heute nichts mehr.

Herr Dr. Kiesel (Lilly): Frau Kretschmer kümmert sich darum.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herr Professor Wörmann, möchten Sie grundsätzlich schon etwas dazu sagen?

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Nein, aber Frau Professor Redlich muss um 11:15 Uhr in die Vorlesung. Deshalb ist die Frage, ob es eine Frage an sie gibt. Es ist wieder Semesterzeit.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja, vielleicht drehen wir es einfach um, wenn das in Ordnung ist.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Ich versuche es noch einmal und lasse die Kamera aus. Hören Sie mich jetzt?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja. Versuchen Sie es, bitte.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Ich lasse die Kamera aus und versuche es. – Also, zweite Anhörung: Es geht um die Tumoragnostik bei RET-Gen nachgewiesener Mutation oder Alteration. Da fange ich noch einmal an. Das Team kennen Sie, das heute für Ihre Fragen da ist.

Grundsätzlich haben Patienten mit soliden Tumoren und einer RET-Genveränderung eine schlechtere Prognose als Patienten ohne diese Genveränderung. Auch unterscheiden sich die Symptome und die Therapie bei diesen sehr jungen Patienten nicht von denen der Kinder ab zwölf Jahren und den Erwachsenen, über die wir hier in einem vorangegangenen Verfahren bereits diskutiert haben.

Das Anwendungsgebiet der RET-positiven soliden Tumoren umfasst sämtliche Tumorentitäten mit Ausnahme der Schilddrüsenkarzinome, über die wir gerade geredet haben. Auch hier reichten der EMA die Daten von den Kindern ab zwei Jahren zusammen mit denen der Kindern ab zwölf Jahren und den Erwachsenen, um eine Zulassung auszusprechen. Der Evidenztransfer war auch hier kein Problem. Obwohl es sich um eine Vielzahl von Entitäten handelt, ist die tatsächliche Häufigkeit äußerst gering. Wir gehen für alle RET-positiven Entitäten in dieser Indikation von null bis einem Neupatienten pro Jahr aus.

Die Symptome der soliden Tumoren orientieren sich an der Lokalisation. Typisch sind Appetitlosigkeit, Gewichtsverlust, Schmerzen, Schwellungen, Müdigkeit und Leistungsabfall. Später können Atemnot, Tumorschmerz, Übelkeit und Verstopfung hinzukommen.

Für die Behandlung werden Immunonkologika oder Antiangiogenese-Therapien und wenn nicht vermeidbar Chemotherapeutika eingesetzt, obwohl keine dieser Therapien für Tumoren mit RET-Genveränderung zugelassen ist und sie eine Wirksamkeit bei Vorliegen der RET-Genveränderung nicht gezeigt haben. … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Sie sind leider wieder weg gewesen, Frau Kretschmer.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Wir können Sie leider nicht verstehen.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Die Frage ist: Warum? Bis wohin haben Sie … (akustisch unverständlich)

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Wir haben wahrscheinlich die letzten 30 bis 45 Sekunden nur zerhackt gehört.

Herr Dr. Mattern (Lilly): Hören Sie uns jetzt, Frau Dr. Optendrenk?

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Ja, jetzt höre ich Sie.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Dann versuchen wir es so noch einmal. Scheinbar mag mich das Mikrofon nicht. – Die vorliegenden Daten wurden bei Patienten erhoben, die in ihrer Erkrankung schon sehr weit fortgeschritten waren. Ein großer Teil hatte bereits Sarkome vorliegen. Bei einem Drittel der Patienten sprach der Tumor auf die Behandlung mit Selpercatinib an. Das mediane Gesamtüberleben betrug mindestens 7,3 Monate – bei stabilem Schmerzgeschehen und stabiler Lebensqualität. Selpercatinib war auch hier gut

verträglich und beeinflusste das Wachstum der Kinder nicht. Es ist oral verfügbar, das macht die Einnahme für die kleinen Kinder besonders einfach.

Mit null bis einer Neuerkrankung pro Jahr in allen Indikationen ist die Fallzahl auch hier äußerst gering, sodass wir auch in dieser Indikation die AMNOG-relevanten Daten nie in einer Studie erheben werden können. Deshalb ist immer noch das Thema mit der personalisierten Medizin und den Target-genauen Produkten, die hier im AMNOG-Verfahren nicht das zeigen können, was sie in der Realität tun.

Wir sehen daher auf der Basis der Daten, die wir eingereicht und in der Studie gesehen haben, auch wenn es sehr geringe Zahlen sind, bei Kindern ab zwei Jahren im Anwendungsgebiet der soliden Tumoren einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen als gerechtfertigt an. – Vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Vielleicht nutzen wir die letzten zwei Minuten, die wir mit Frau Professor Redlich haben, um zu fragen: Sie haben in der Stellungnahme ausgeführt, dass Selpercatinib eine Alternative zu anderen systemischen Therapien teilweise mit hohen Nebenwirkungen oder auch nachgewiesener begrenzter Wirksamkeit ist. Können Sie bitte sagen, wie aktuell die pädiatrischen Patienten behandelt werden?

Frau Prof. Dr. Redlich (GPOH): Einschränkend muss ich sagen, dass ich für diese Tumoren nicht der Experte in Deutschland bin, weil die RET-Fusionen im Kindesalter hauptsächlich bei Sarkomen und Weichteiltumoren vorkommen. Da gibt es eine andere Studienleitung, wenn man so will. Aber prinzipiell ist es so, dass das alles extrem selten ist. In der Kinderonkologie ist es so: Wenn wir sehen, dass wir mit unserer konventionellen Chemotherapie, Chirurgie nicht weiterkommen, werden diese Tumoren molekular aufgearbeitet. Das läuft über das INFORM-Register.

Wenn man eine RET-Fusion findet, dann sprechen die die Empfehlung aus, dass man das dementsprechend behandelt. Das läuft in der Regel off-label. Ich glaube, die anderen Studienleitungen haben vielleicht diese Einzelfälle gesammelt, wie wir das bei den Schilddrüsen gesammelt haben. Laut Literatur gibt es einmal in der LOXO-292-Studie drei Kinder mit soliden Tumoren außerhalb der Schilddrüse, die in den Zwischenergebnissen eine partielle Remission erreicht haben und bei denen die Therapie fortgeführt wurde. Ansonsten habe ich noch einen Säugling mit einem RET-fusionierten Sarkom gefunden, der in der Erstlinientherapie unter Selpercatinib ein beeindruckendes Ansprechen gezeigt hat. Ansonsten ist die Evidenz sehr gering, weil sehr selten.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. – Gibt es weitere Fragen, insbesondere an Frau Dr. Redlich? Ich sehe keine Fragen mehr. Wenn das nicht der Fall ist, dann wären wir mit der Anhörung durch. Ich bedanke mich bei Frau Professor Redlich dafür, dass Sie heute bei den Anhörungen dabei waren. – Herr Professor Wörmann, bitte.

Herr Prof. Dr. Wörmann (DGHO): Sie haben bei der ersten Anhörung eben gefragt, ob es einen Unterschied zwischen Erwachsenen und Kindern gibt. Der Punkt ist, glaube ich, der, den Frau Redlich machte, dass bei den Kindern vor allem die Sarkome betroffen sind. Es gibt in der Tat eine Reihe von Chemotherapieoptionen. Deshalb haben wir uns in unserer Stellung entschieden zu sagen, Best-Supportive-Care würde hier nicht passen. Man würde bei den Kindern nicht nichts tun, sondern potenziell Chemotherapie geben.

Das ist völlig anders als bei den Erwachsenen. Da sehen wir dominierend nicht-kleinzellige Lungenkarzinome, wir sehen Mammakarzinome, wir sehen Tumoren des Gastrointestinaltraktes. Das sind andere Optionen, als wir sie bei den Kindern haben. Deshalb haben wir das so betont. Best-Supportive-Care müsste eigentlich bestverfügbare Therapie sein, weil die meisten der Kinder und Säuglinge behandelt werden.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank, Herr Professor Wörmann, für die Ergänzung. – Damit geben wir abschließend an Sie, Frau Professor Kretschmer, und hoffen, dass es dieses Mal mit dem richtigen Mikro funktioniert. Bitte schön.

Frau Prof. Dr. Kretschmer (Lilly): Ja, wir haben schon zwei Rechner plattgemacht. Mal schauen, ob das jetzt hält. – Kurze Zusammenfassung: Bei den soliden Tumoren ab zwei Jahren sehen wir hier auch ein Ansprechen. Ein Drittel der Patienten spricht auf die Behandlung mit Selpercatinib an. Wir zeigen sogar, dass wir ein Überleben über mindestens sieben Monate haben – die Endzeiten sind noch nicht erreicht – und das bei stabilem Schmerzgeschehen und stabiler Lebensqualität. Für die kleinsten Patienten ist das ein wichtiger Effekt.

Die Herausforderung haben wir hier diskutiert, nicht nur im ersten Verfahren, sondern auch hier: Wir bekommen damit keine bessere Evidenz. Das sind mehr oder weniger Fallberichte, die hier nur vorliegen können, weil die Zahlen so klein sind. Aber die Übertragbarkeit liegt wahrscheinlich im Vorliegen der Sarkome bei den Kleinen. Aber die gute Ansprechrate spricht für dieses Produkt, auch bei den kleinen Kindern, bei den soliden Tumoren.

Deshalb sehen wir auch hier einen nicht-quantifizierbaren Zusatznutzen als adäquat an. Vielen Dank.

Frau Dr. Optendrenk (Vorsitzende): Herzlichen Dank. Ich darf mich bei allen bedanken, die an dieser Anhörung teilgenommen haben. Ich hoffe, dass wir beim nächsten Mal die technischen Probleme nicht haben. Aber wir wissen alle, manchmal weiß man nicht, was im eigenen Laden noch parallel läuft. Ich danke Ihnen herzlich, wünsche Ihnen einen schönen Nachmittag und darf jetzt die Anhörung schließen. Danke schön.

Schluss der Anhörung: 11:16 Uhr