

Vimseinib (tenosynoviale Riesenzelltumore)

Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

DOSSIERBEWERTUNG

A horizontal color bar consisting of a dark blue header with the text 'DOSSIERBEWERTUNG' in white, followed by a series of 20 colored squares transitioning from light blue to dark blue.

Projekt: G25-31

Version: 1.0

Stand: 27.01.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2175

DOI: 10.60584/G25-31

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Vimsetinib (tenosynoviale Riesenzelltumore) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

30.10.2025

Interne Projektnummer

G25-31

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G25-31>

Anschrift des Herausgebers

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0

Fax: +49 221 35685-1

E-Mail: info@iqwig.de

Internet: www.iqwig.de

ISSN: 1864-2500

Zitievorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Vimsetinib (tenosynoviale Riesenzelltumore); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G25-31>.

Schlagwörter

Vimsetinib, Riesenzelltumor der Sehnenscheide, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Vimsetinib, Giant Cell Tumor of Tendon Sheath, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Markus Weber, Abteilung für Sarkome und muskuloskelettale Tumore, Krankenhaus Barmherzige Brüder, Regensburg

Das IQWiG dankt dem medizinisch-fachlichen Berater für seinen Beitrag zur Dossierbewertung. Der Berater war jedoch nicht in die Erstellung der Dossierbewertung eingebunden. Für die Inhalte der Dossierbewertung ist allein das IQWiG verantwortlich.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Yvonne Zens
- Judith Kratel
- Mandy Kromp
- Betül Özdemir-Basat
- Anja Schwalm

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abbildungsverzeichnis	vi
Abkürzungsverzeichnis.....	vii
1 Hintergrund.....	1
1.1 Anwendungsgebiet.....	1
1.2 Verlauf des Projekts.....	1
1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs	2
2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung.....	3
3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	4
3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	4
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	4
3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	4
3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	4
3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	11
3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	14
3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	14
3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)..	14
3.2.1 Behandlungsdauer.....	15
3.2.2 Verbrauch	15
3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	15
3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	15
3.2.5 Jahrestherapiekosten	15
3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung	16
3.2.7 Versorgungsanteile.....	17
3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)	17
4 Literatur	18
Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen	20

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	14
Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr.....	16

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Zusammenfassung der Berechnungsschritte des pU zur Ermittlung der Anzahl von Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (eigene Darstellung).....	5

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
D-TGCT	Diffuse Tenosynovial Giant Cell Tumours (diffuse tenosynoviale Riesenzelltumore)
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD-10-GM	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10, German Modification (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation)
InGeF	Institut für angewandte Gesundheitsforschung Berlin
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
N-TGCT	Nodular Tenosynovial Giant Cell Tumours (noduläre tenosynoviale Riesenzelltumore)
pU	pharmazeutischer Unternehmer
TGCT	Tenosynovial Giant Cell Tumours (tenosynoviale Riesenzelltumore)
SGB	Sozialgesetzbuch

1 Hintergrund

1.1 Anwendungsgebiet

Vimsetinib wird angewendet zur Behandlung von Erwachsenen mit symptomatischen tenosynovialen Riesenzelltumoren (TGCT), die mit einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit assoziiert sind und bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden.

1.2 Verlauf des Projekts

Vimsetinib ist ein sogenanntes Orphan Drug, also ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens zugelassen¹ ist. Für Orphan Drugs gilt nach § 35a Abs. 1 Satz 11 Sozialgesetzbuch (SGB) V der medizinische Zusatznutzen bereits durch die Zulassung als belegt.

Daher beauftragte der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) allein im Hinblick auf die folgenden Angaben zu bewerten:

- Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV)
- Kosten der Therapie für die GKV
- Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V

Das Dossier wurde dem IQWiG am 30.10.2025 übermittelt.

Die vorliegende Bewertung wurde unter Einbindung einer / eines externen Sachverständigen (einer Beraterin / eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese Beratung beinhaltete die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Krankheitsbild / Krankheitsfolgen, Therapieziele, Patientinnen und Patienten im deutschen Versorgungsalltag, Therapieoptionen, therapeutischer Bedarf und Stand der medizinischen Praxis. Darüber hinaus konnte eine Einbindung im Projektverlauf zu weiteren spezifischen Fragen erfolgen. Alle Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pU.

¹ nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht.

Die Verantwortung für die vorliegende Bewertung und für das Bewertungsergebnis liegt ausschließlich beim IQWiG. Die Bewertung wird zur Veröffentlichung an den G-BA übermittelt, der ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Über die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sowie über die Kosten der Therapie für die GKV beschließt der G-BA.

1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung bei Orphan Drugs

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung von Orphan Drugs. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) und der Bewertung des Ausmaßes des gesetzlich zu unterstellenden Zusatznutzens durch den G-BA auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden ggf. die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier (Module 1 bis 4) des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

2 Nutzenbewertung und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Das Ausmaß des Zusatznutzens wird durch den G-BA bewertet. Ggf. werden vom G-BA außerdem Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung adressiert. Aus diesen Gründen sind die Bewertung des Zusatznutzens und Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung nicht Gegenstand dieses Berichts.

3 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

3.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

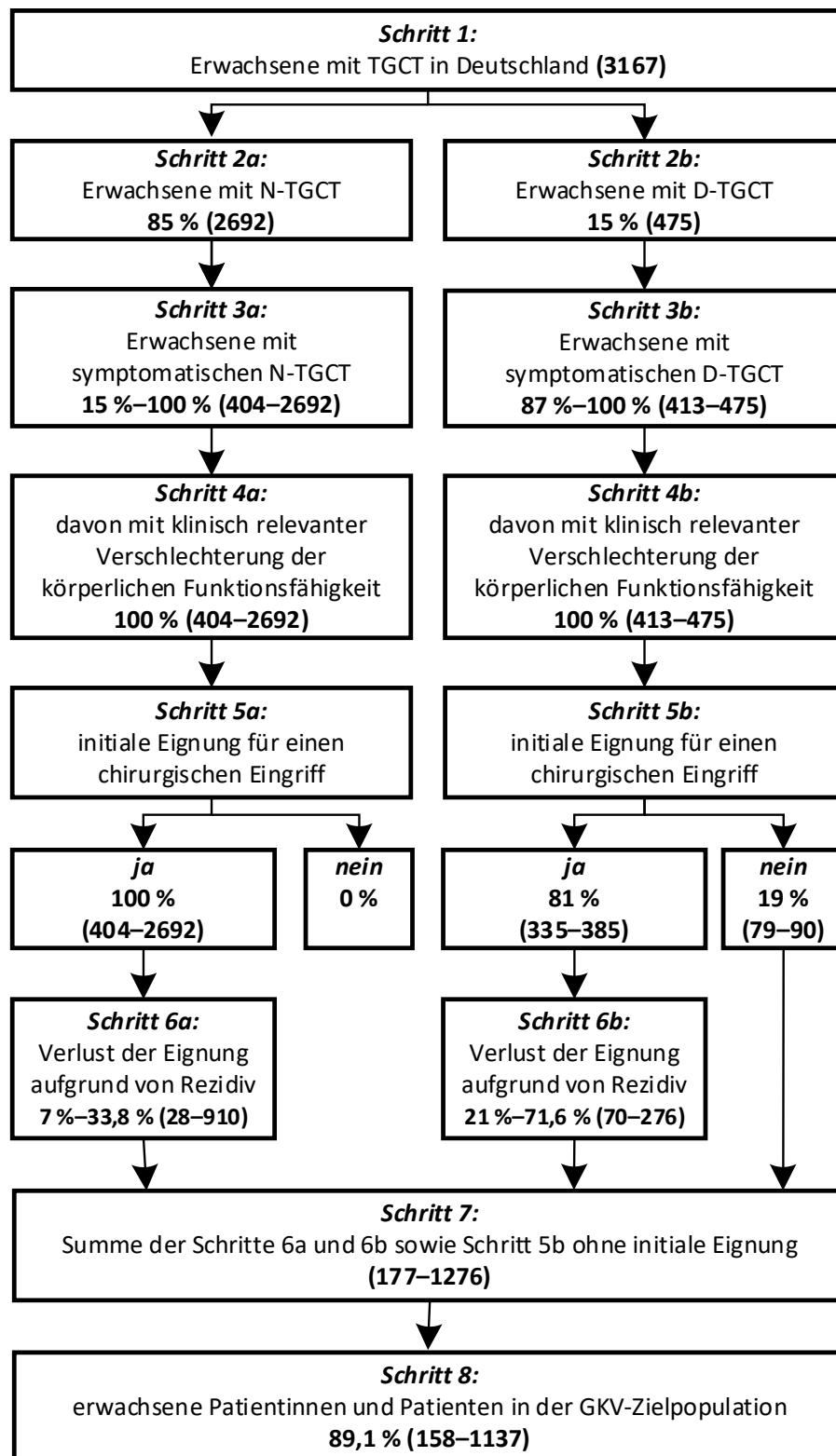
3.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die Erkrankung der tenosynovialen Riesenzelltumoren (TGCT) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar. Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation [1]. Demnach ist Vimsetinib zur Behandlung von Erwachsenen mit symptomatischen TGCT indiziert, die mit einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit assoziiert sind und bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden [1].

3.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

3.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte, die in Abbildung 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.



Angabe der Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Klammern

D-TGCT: diffuse TGCT; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; N-TGCT: noduläre TGCT; TGCT: tenosynoviale Riesenzelltumore

Abbildung 1: Zusammenfassung der Berechnungsschritte des pU zur Ermittlung der Anzahl von Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (eigene Darstellung)

Schritt 1: Erwachsene mit TGCT in Deutschland

Zur Ermittlung der Anzahl Erwachsener mit TGCT in Deutschland legt der pU eine Auswertung zugrunde, die auf der Forschungsdatenbank des Instituts für angewandte Gesundheitsforschung Berlin (InGeF) beruht. Gemäß dem Bericht zur Routinedatenanalyse [2] greift diese auf Daten von etwa 4 Millionen Versicherten aus etwa 50 gesetzlichen Krankenkassen in Deutschland zurück und entspricht in den Merkmalen Alter, Geschlecht und räumliche Abdeckung der Struktur der Bevölkerung in Deutschland.

In einem retrospektiven Studiendesign wurden aus dieser Datenbank alle Personen identifiziert, die zwischen dem 01.01.2018 und dem 31.12.2023 kontinuierlich beobachtbar waren (N = 3 305 985). Hieraus wurden Personen eingeschlossen, wenn eines der beiden folgenden Aufgreifkriterien erfüllt war:

- 1) mindestens 1 stationäre Haupt- oder Nebendiagnose M12.2* (Villonoduläre Synovitis [pigmentiert]) gemäß der internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, deutsche Modifikation (ICD-10-GM) im Zeitraum vom 01.01.2023 bis 31.12.2023 oder
- 2) mindestens 2 ambulante Diagnosen M12.2* (Villonoduläre Synovitis [pigmentiert]) gemäß ICD-10-GM im Zeitraum vom 01.01.2023 bis 31.12.2023 in 2 unterschiedlichen Quartalen oder im gleichen Quartal durch 2 unterschiedliche Ärztinnen oder Ärzte.

Der pU multipliziert die Anzahl der im Rahmen dieser Analyse identifizierten kontinuierlich beobachtbaren Personen (N = 3 305 985) mit dem vom Statistischen Bundesamt für den Bevölkerungsstand zum 31.12.2023 dokumentierten Anteil von 83,1 % erwachsener Personen an der in Deutschland lebenden Gesamtbevölkerung [3]. Dieser Anteil basiert auf den Ergebnissen der Bevölkerungsforschreibung auf Grundlage des Zensus 2011 (Stand: 14.06.2024). Auf diese Weise ermittelt der pU eine Analysepopulation von 2 747 274 Erwachsenen, für die in der Routinedatenanalyse 125 Fälle mit TGCT identifiziert wurden. Hieraus berechnet er eine Prävalenz von 4,55 je 100 000 erwachsene Personen. Diese multipliziert der pU mit der auf Grundlage der vom Statistischen Bundesamt für den Bevölkerungsstand zum 31.12.2024 ausgewiesenen Anzahl von 83 577 140 Personen [4] abgeleiteten Anzahl von 69 602 098 Erwachsenen. Dieser Bevölkerungsstand basiert auf den Ergebnissen der Bevölkerungsforschreibung auf Grundlage des Zensus 2022 (Stand: 27.06.2025). Der pU ermittelt auf diese Weise eine Anzahl von **3167** erwachsenen Personen mit TGCT.

Schritt 2: Erwachsene mit N-TGCT bzw. D-TGCT

Der pU hält fest, dass bei der Erkrankung der TGCT zwischen der nodulären (N-TGCT) und der diffusen Form (D-TGCT) zu differenzieren ist, da sich die beiden Formen im klinischen

Erscheinungsbild, dem Krankheitserlauf sowie infolgedessen hinsichtlich der Behandlungsmöglichkeiten unterscheiden.

Der pU gibt an, dass sich aus der Publikation Mastboom et al. 2017 [5] für N-TGCT ein Anteilswert von etwa 90 % ergibt. Berichtet wird darin über die Ergebnisse einer Auswertung des niederländischen Pathologie-Registers zwischen 2009 und 2014. Das Autorenteam berichtete von 68 % der auswertbaren Fälle mit Lokalisation an den Finger- bzw. Zehengelenken, 23 % der Fälle mit Lokalisation an den Extremitäten und 9 % der Fälle mit einer diffusen Form der TGCT.

Aus einer weiteren Publikation von Ehrenstein et al. 2017 [6] ergibt sich laut Angaben des pU für N-TGCT ein Anteilswert von etwa 80 %. Der Publikation liegt eine Auswertung verknüpfter Daten von Patientinnen und Patienten mit TGCT aus 4 landesweiten dänischen Registern der Jahre 1997 bis 2012 zugrunde. Die durchschnittliche Prävalenz für N-TGCT wird mit 44,3 und für D-TGCT mit 11,5 jeweils je 1 000 000 Personenjahre angegeben. Es wird vermutet, dass der pU für die Ableitung des Anteilswertes von etwa 80 % aus dieser Studie die Prävalenz der N-TGCT durch die Summe der Prävalenzen für N-TGCT und D-TGCT dividiert hat.

Der pU bildet aus den beiden zuvor genannten Anteilswerten für N-TGCT einen Mittelwert von **85 %** und legt diesen Anteilswert sowie dessen Gegenwert (**15 %** D-TGCT) für die Verteilung der beiden TGCT-Formen zugrunde. Übertragen auf die in Schritt 1 ermittelte Gesamtzahl von 3167 Erwachsenen mit TGCT ergeben sich die vom pU im Dossier dokumentierten **2692** bzw. **475** Erwachsenen mit N-TGCT bzw. D-TGCT.

Schritt 3: Erwachsene mit symptomatischen TGCT

Schritt 3a: Erwachsene mit symptomatischen N-TGCT

Der pU dokumentiert, dass er der Publikation Żyluk & Owczarska 2020 [7] einen Anteilswert von **15 %** für die Berechnung der unteren Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen N-TGCT entnimmt. Der Anteilswert selbst entstammt einer in Żyluk & Owczarska 2020 erwähnten Metaanalyse von Studien aus den Jahren 1980 bis 2009 und beinhaltet Daten von 605 Patientinnen und Patienten im Alter von 32 bis 51 Jahren [8].

Den Anteilswert von **100 %** für die Berechnung der oberen Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen N-TGCT leitet der pU aus der Publikation Stern et al. 2025 [9] ab. Berichtet wird darin über eine Analyse der im TGCT-Support-Patientenregister mittels Fragebogen erfassten Selbstauskünfte von 497 erwachsenen Betroffenen aus 32 Ländern. Es handelt sich um Betroffene, die in der Zeit vom 06.10.2022 bis zum 06.12.2023 ihre Eingaben beim Register machten. Der Publikation ist zu entnehmen, dass alle Patientinnen und Patienten, unabhängig davon ob es sich um N-TGCT oder D-TGCT handelte, über mindestens 1 TGCT-bezogenes Symptom berichteten.

Schritt 3b: Erwachsene mit symptomatischen D-TGCT

Den Anteilswert für die Berechnung der unteren Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen D-TGCT leitet der pU aus der Publikation Spierenburg et al. 2024 [10] ab. Hierbei handelt es sich um eine retrospektive Kohortenstudie, für die die Patientenakten von 61 therapienaiven Patientinnen und Patienten mit D-TGCT, die in den Jahren 2000 bis 2019 in 8 Sarkomzentren der Niederlande, der USA, Italien und Kanada mittels Active Surveillance behandelt wurden, analysiert wurden. Der Publikation ist zu entnehmen, dass 8 (13 %) dieser Betroffenen asymptomatisch waren. Aus dem Gegenwert hierzu leitet der pU einen Anteilswert von **87 %** an Patientinnen und Patienten mit symptomatischen D-TGCT ab.

Für die Berechnung der oberen Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen D-TGCT zieht der pU wiederum den Anteilswert von **100 %** aus Stern et al. 2025 [9] heran.

Der pU überträgt die jeweiligen Anteilswerte auf den vorherigen Rechenschritt und berechnet eine Anzahl von **404 bis 2692** bzw. **413 bis 475** Erwachsenen mit symptomatischen N-TGCT bzw. D-TGCT.

Schritt 4: Erwachsene mit symptomatischen TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit

Der pU gibt an, dass er den Anteilswert von **100 %** für die Berechnung der Anzahl der Patientinnen und Patienten mit symptomatischen TGCT und einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit der Publikation Mastboom et al. 2018 [11] entnimmt. Das Autorenteam berichtet über die Ergebnisse einer Querschnittsstudie, der eine Online-Umfrage zugrunde lag. Der Publikation ist zu entnehmen, dass alle 337 in die Analyse einbezogenen Patientinnen und Patienten im Vergleich zur allgemeinen US-Bevölkerung niedrigere Werte im Patient-Reported Outcomes Measurements Information System — Physical Function aufwiesen.

Übertragen auf die ermittelte Anzahl aus den Schritten 3a und 3b ergeben sich **404 bis 2692** bzw. **413 bis 475** Erwachsene mit symptomatischen N-TGCT bzw. D-TGCT und einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit.

Schritt 5: Erwachsene mit symptomatischen TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit und initialer Eignung für einen chirurgischen Eingriff bei Erstdiagnose

Schritt 5a: Erwachsene mit symptomatischen N-TGCT und initialer Eignung für einen chirurgischen Eingriff

Im Fall von Patientinnen und Patienten mit N-TGCT geht der pU davon aus, dass alle Betroffenen (100 %) eine initiale Eignung aufweisen, da hier die klar definierten Tumorränder

in aller Regel eine chirurgische Entfernung der Tumore ermöglichen. Hierfür verweist er auf einen Übersichtsartikel von Chan et al. 2023 [12] sowie eine Best practice Guideline für Weichteilsarkome aus Großbritannien aus dem Jahr 2016 [13]. In der Konsequenz dokumentiert der pU 0 Erwachsene mit symptomatischen N-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, die bei Erstdiagnose keine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen bzw. 404 bis 2692, die bei Erstdiagnose eine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen.

Schritt 5b: Erwachsene mit symptomatischen D-TGCT und initialer Eignung für einen chirurgischen Eingriff

Für die Ermittlung derjenigen mit D-TGCT, die bei Erstdiagnose keine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen, greift der pU auf eine multinationale retrospektive Kohortenstudie von Mastboom et al. 2019 [14] zurück. Hierfür wurden 1192 Patientinnen und Patienten mit histologisch nachgewiesener D-TGCT zwischen 1990 und 2017 in einem von 31 spezialisierten Sarkomzentren in Europa, Nordamerika, Kanada und Asien behandelt. Laut pU kann aus dieser Publikation abgeleitet werden, dass mindestens 81 % der Patientinnen und Patienten mit D-TGCT bei Erstdiagnose eine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufwiesen. Der pU bildet hierzu den Gegenwert und leitet in der Konsequenz ab, dass maximal 19 % der Betroffenen dies nicht taten. Diesen Anteilswert wendet er auf die zuvor in Schritt 4 ermittelte Spanne an und berechnet auf diese Weise eine Anzahl von 79 bis 90 Erwachsenen mit symptomatischen D-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, die bei Erstdiagnose keine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen. Unter Verwendung des Anteilswerts von 81 % berechnet der pU gleichermaßen eine Anzahl von 335 bis 385 Erwachsenen mit symptomatischen D-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, die bei Erstdiagnose eine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen.

Schritt 6: Verlust der Eignung für einen chirurgischen Eingriff infolge rezidivierter TGCT

Der pU operationalisiert die Patientinnen und Patienten bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden, als solche, die nach einer vorausgegangen Therapiemethode ein Rezidiv entwickelten. Er zudem hält fest, dass die Eignung für einen chirurgischen Eingriff infolge eines erhöhten Risikos für postoperative Komplikationen und verringerten kurativen Potenzials nach wiederholten chirurgischen Eingriffen bei rezidivierten TGCT verloren gehen kann. Vor diesem Hintergrund ermittelt er die Rezidivraten für N-TGCT und D-TGCT.

Schritt 6a: Verlust der Eignung für einen chirurgischen Eingriff infolge rezidivierter N-TGCT

Für die Untergrenze greift der pU auf eine systematische Übersichtsarbeit von Siegel et al. 2021 [15] zurück, aus der er einen Anteilswert von 7 % für Erwachsene mit N-TGCT und einem Rezidiv entnimmt. Die metaanalytische Zusammenfassung des Autorenteams ergab für

N-TGCT aus 9 Studien eine Rezidivrate von 7 % unabhängig von der vorausgegangenen Therapiemethode. Die mittlere Nachbeobachtungszeit in diesen Studien betrug $51,1 \pm 24,6$ Monate. Die Obergrenze entnimmt er der bereits in Schritt 3 beschriebenen Publikation Stern et al. 2025 [9] und weist auf dieser Grundlage eine Rezidivrate von 33,8 % für die N-TGCT aus.

Schritt 6b: Verlust der Eignung für einen chirurgischen Eingriff infolge rezidivierter D-TGCT

Für die Untergrenze zieht der pU ebenfalls die bereits erwähnte Publikation von Siegel et al. 2021 [15] heran. Für D-TGCT ergab die Metaanalyse aus 22 Studien eine Rezidivrate von 21 %. Die mittlere Nachbeobachtungszeit in diesen Studien betrug $37,9 \pm 27,4$ Monate.

Die Obergrenze entnimmt er der bereits in Schritt 3 beschriebenen Publikation Stern et al. 2025 [9] und weist auf dieser Grundlage eine Rezidivrate von 71,6 % für die D-TGCT aus.

Wenn man die so ermittelten Anteilswerte für N-TGCT bzw. D-TGCT jeweils auf die zuvor vom pU berechnete Anzahlen für erwachsene Patientinnen und Patienten mit symptomatischen N-TGCT bzw. D-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, die bei Erstdiagnose eine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen anwendet, ergeben sich die von ihm dokumentierten Spannen von

- 28 bis 910 Erwachsenen mit symptomatischen N-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, die die Eignung für einen chirurgischen Eingriff infolge rezidivierter TGCT verlieren (Schritt 6a) bzw.
- 70 bis 276 Erwachsenen mit symptomatischen D-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, die die Eignung für einen chirurgischen Eingriff infolge rezidivierter TGCT verlieren (Schritt 6b).

Schritt 7: Summe der Schritte 6a und 6b sowie Schritt 5b ohne initiale Eignung

Mittels Addition der Ergebnisse aus den Schritten 5 und 6 ermittelt der pU eine Anzahl von

- 28 bis 910 Erwachsenen mit symptomatischen N-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden bzw.
- 149 bis 366 Erwachsenen mit symptomatischen D-TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden bzw.

In Summe ermittelt der pU **177 bis 1276** Erwachsene mit symptomatischen TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, bei denen chirurgische

Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden.

Schritt 8: Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von **89,1 %** [4,16] ermittelt der pU eine Anzahl von **158 bis 1137** Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

3.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU zur Herleitung der Zielgruppe ist – zum Teil unter Zugrundelegung verschiedener Annahmen – rechnerisch nachvollziehbar. Der pU rechnet durchweg mit ungerundeten Werten. Insgesamt ist die vom pU angegebene Untergrenze mit Unsicherheit behaftet. Die Obergrenze ist trotz Unsicherheiten tendenziell unterschätzt, da die vom pU ausgewiesene Rate in Schritt 1 als minimale Prävalenzrate der TGCT anzusehen ist. Es wird davon ausgegangen, dass dies auch durch nachfolgende Rechenschritte, denen eine Überschätzung zugrunde liegt, nicht ausgeglichen wird. Weitere maßgebliche Gründe sowie weitere Aspekte werden nachstehend erläutert.

Zu Schritt 1: Patientinnen und Patienten mit TGCT in Deutschland

Die vom pU aus der Routinedatenanalyse [2] abgeleitete Prävalenz der TGCT unter erwachsenen Personen ist als Untergrenze anzusehen. Dies ist insbesondere auf die von den Verfassern der Routinedatenanalyse formulierte Limitation ihrer Analyse zurückzuführen[2]: Die Identifizierung von TGCT-Patientinnen und Patienten sei dadurch „erschwert, dass die bestehenden ICD-10-GM-Diagnosecodes nur eine begrenzte direkte Identifizierung von TGCT-Fällen in der Datenbank ermöglichen, da es keinen spezifischen ICD-10-GM-Diagnosecode gibt und dass inkonsistente Kodierungspraktiken die Zuverlässigkeit der bestehenden Codes weiter beeinträchtigen. Dementsprechend muss bei der Interpretation der hier vorgestellten Ergebnisse berücksichtigt werden, dass bestimmte Teile der TGCT-Population, denen unspezifische Diagnosecodes zugewiesen wurden, in den hier dargestellten Zahlen nicht enthalten sind“.

Darüber hinaus nimmt der pU zwar die von Ehrenstein et al. 2017 [6] für die dänische erwachsene Bevölkerung ermittelte höhere Prävalenz für TGCT – 55,8 je 100 000 Personen – zur Kenntnis, sieht hierfür aber eine Unsicherheit hinsichtlich der Übertragbarkeit auf den deutschen Versorgungskontext. Ebenfalls auf die Kodierungsproblematik eingehend, räumt das Autorenteam Ehrenstein et al. 2017 [6] für seine ermittelten Werte ein, dass die zur N-TGCT einen unbekannten Anteil an nicht-TGCT-Fällen beinhalten könnte und die zur D-TGCT ggf. einen unbekannten Anteil an D-TGCT-Fällen, die lediglich durch bildgebende Diagnostik identifiziert wurden. Daraus leitet sich eine mögliche Überschätzung der Prävalenzrate ab.

Für die Prävalenz der TGCT in Deutschland ist unter Berücksichtigung dieser beiden Quellen daher am ehesten von einer Spanne von 4,55 bis 55,8 pro 100 000 Personen auszugehen.

Zu Schritt 3: Erwachsene mit symptomatischen TGCT

Zu Schritt 3a: Patientinnen und Patienten mit symptomatischen N-TGCT

Der vom pU verwendete Anteilswert für die Berechnung der unteren Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen N-TGCT (15 %) aus Żyluk und Owczarska 2020 [7] ist mit Unsicherheit behaftet, da er sich u. a. lediglich in der Diskussion dieser Publikation mit Verweis auf eine weitere Primärquelle wiederfindet. Daher ist der vom pU zugrunde gelegte Anteilswert für die untere Grenze bei N-TGCT in diesem Schritt mit Unsicherheit behaftet.

Zu Schritt 3b: Patientinnen und Patienten mit symptomatischen D-TGCT

Der vom pU verwendete Anteilswert für die Berechnung der unteren Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen D-TGCT (87 %) aus Spierenberg 2024 [10] ist ebenfalls mit Unsicherheit behaftet, da angesichts des Einschlusskriteriums bisher therapienaiver Patientinnen und Patienten für diese Studie eine Selektion von weniger stark Betroffenen stattgefunden hat und eine Übertragbarkeit auf alle von D-TGCT Betroffenen daher unsicher ist. Das Anwendungsgebiet von Vimsetinib ist zudem nicht auf bisher therapienaive Patientinnen und Patienten begrenzt.

Zu Schritten 3a und 3b: Patientinnen und Patienten mit symptomatischen TGCT

Der Einschätzung des pU bzw. des Autorenteams Stern et al. 2025 [9] folgend sind die Anteilswerte von jeweils 100 % für die Berechnung der oberen Grenze der Spanne von Patientinnen und Patienten mit symptomatischen N-TGCT bzw. D-TGCT überschätzt. Es handelt sich um eine selektierte Population mit besonderer Betroffenheit, die über Patientenselbsthilfegruppen auf die Befragung aufmerksam gemacht wurde und daher eine vermutlich höhere Wahrscheinlichkeit für einen symptomatischen Krankheitsverlauf aufweisen. Insgesamt ist anzumerken, dass definierte Operationalisierung für eine symptomatische Erkrankung zugrunde gelegt wurde.

Zu Schritt 4: Patientinnen und Patienten mit symptomatischen TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit

In der vom pU herangezogenen Quelle von Mastboom et al. 2018 [11] wird ein Anteilswert für die klinisch relevante Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit auf Basis eines Vergleichs zur Allgemeinbevölkerung in den USA ermittelt. Es ist unklar, ob sich die klinische Verschlechterung im Rahmen des Anwendungsgebietes auf einen Zeitpunkt vor Erkrankungsbeginn oder auf einen Zeitraum im Krankheitsverlauf bezieht.

Der vom pU verwendete Anteilswert für die Berechnung der Anzahl der Patientinnen und Patienten mit symptomatischen TGCT und einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit ist mit Unsicherheit behaftet und tendenziell überschätzt. Dies ist auf eine fragliche Übertragbarkeit der Studienergebnisse aus Mastboom et al. 2018 [11] auf den vorherigen Rechenschritt zurückzuführen, da die Studienpopulation laut Einschätzung des Autorenteams insbesondere bedingt durch das Studiendesign ein Selektionsbias in Richtung einer besonderen Schwere der Erkrankung zugrunde liegt.

Zu Schritt 5: Patientinnen und Patienten mit symptomatischen TGCT und klinisch relevanter Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit, bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden

Zu Schritt 5a: Keine Eignung für chirurgischen Eingriff bei Erstdiagnose

Der Einschätzung des pU folgend ist der zugrunde gelegte Anteilswert von 100 % [12,13] hinsichtlich einer initialen Eignung unter Betroffenen mit N-TGCT potenziell überschätzt und damit die Anzahl derjenigen, die bei Erstdiagnose keine Eignung für einen chirurgischen Eingriff aufweisen potenziell unterschätzt. Es ist davon auszugehen, dass sich aufgrund der anatomischen Lage des Tumors Ausnahmen ergeben, die die Zugänglichkeit für einen chirurgischen Eingriff einschränken.

Die Vorgehensweise des pU, von einem Anteilswert chirurgisch behandelter D-TGCT-Betroffener in Höhe von 81 % mittels Gegenwertbildung auf einen Anteil von 19 % initial inoperabler Patientinnen und Patienten zu schließen, ist nicht adäquat. Der zugrunde gelegten Publikation Mastboom et al. 2019 [14] ist zu entnehmen, dass bei 76 Betroffenen sogenanntes „Wait and see“ die gewählte Therapieform darstellte. Andererseits bedingt das Zurückgreifen auf Daten aus spezialisierten Sarkomzentren möglicherweise eine Überschätzung des Anteilswertes für initial für einen chirurgischen Eingriff geeignete Betroffene, da hier besondere Fertigkeiten für eine chirurgische Behandlung gegenüber denen in nicht spezialisierten Zentren angenommen werden können. Die vom pU an dieser Stelle zugrunde gelegten Anteilswerte für D-TGCT sind in diesem Schritt insgesamt mit Unsicherheit behaftet.

Zu Schritt 5b: Verlust der Eignung für chirurgischen Eingriff infolge rezidivierter TGCT

Der pU geht davon aus, dass seine Vorgehensweise, auf Rezidivraten zurückzugreifen, zu einer Überschätzung der infolgedessen berechneten Anzahl an Patientinnen und Patienten führt. Denn es fehle eine Berücksichtigung derjenigen Patientinnen und Patienten, welche mehrfachen chirurgischen Eingriffen unterzogen werden, bevor chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden. Dieser Aspekt ist zunächst nachvollziehbar. Allerdings sind darüber hinaus die nachfolgend genannten Punkte zu berücksichtigen.

Im Hinblick auf die teilweise begrenzten Nachbeobachtungszeiten in den eingeschlossenen Studien (N-TGCT Spanne: 20,6 bis 72,1 Monate bzw. D-TGCT Spanne: 13,0 bis 111,3 Monate) ist zudem von einer tendenziellen Unterschätzung der unteren Grenzen der Rezidivraten auszugehen. Für die Berechnung der unteren Grenzen der beiden Spannen greift der pU jeweils auf die systematische Übersichtsarbeit von Siegel et al. 2021 [15] zurück. Angesichts der dort erfolgten Eingrenzung auf Rezidivraten von TGCT des Fußes und des Knöchels ist eine Übertragbarkeit der ermittelten Werte aus dieser Publikation auf TGCT allgemein mit Unsicherheit behaftet.

Hinsichtlich der aus Stern et al. 2025 [9] entnommenen Anteilswerte für Rezidive zur Berechnung der oberen Grenzen der beiden Spannen gelten die zu Schritt 3 dargelegten Ausführungen (Überschätzung einerseits sowie fragliche Übertragbarkeit auf alle von TGCT Betroffenen andererseits).

3.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU gibt an, dass keine Hinweise auf eine Änderung der Prävalenz und Inzidenz der TGCT identifiziert werden konnten und geht deshalb von keiner maßgeblichen Veränderung der Patientenzahlen im Anwendungsgebiet innerhalb der nächsten 5 Jahre aus.

3.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Vimsetinib	Erwachsene mit symptomatischen TGCT, die mit einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit assoziiert sind und bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden	158–1137	Insgesamt ist die vom pU angegebene Untergrenze mit Unsicherheit behaftet. Die Obergrenze ist trotz Unsicherheiten tendenziell unterschätzt (siehe Abschnitt 3.1.2.2).

a. Angabe des pU
GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; TGCT: tenosynoviale Riesenzelltumore

3.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

Die Angaben des pU beziehen sich auf das 1. Behandlungsjahr.

3.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Vimsetinib entsprechen der Fachinformation [1].

Da in der Fachinformation [1] keine maximale Behandlungsdauer quantifiziert ist, wird in der vorliegenden Bewertung rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Behandlungsdauer patientenindividuell unterschiedlich ist. Dies entspricht dem Vorgehen des pU.

3.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch entsprechen der Fachinformation [1].

3.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Vimsetinib geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.11.2025, der erstmaligen Listung, wieder.

3.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Er gibt an, dass gemäß Fachinformation [1] die Leberfunktion vor Einleitung der Behandlung überwacht werden sollte. Dies ist nachvollziehbar. Der pU macht Angaben für weitere zusätzlich notwendige GKV-Leistungen, die in der Fachinformation lediglich empfohlen werden [1].

3.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Vimsetinib Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 335 986,11 €. Sie bestehen aus Arzneimittelkosten und Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen. Die Angaben des pU sind in der Größenordnung plausibel.

3.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Vimsetinib	Erwachsene mit symptomatischen TGCT, die mit einer klinisch relevanten Verschlechterung der körperlichen Funktionsfähigkeit assoziiert sind und bei denen chirurgische Optionen ausgeschöpft sind oder zu einer inakzeptablen Morbidität oder Behinderung führen würden	335 979,11	7,00	0	335 986,11	Die Angaben des pU beziehen sich auf das 1. Behandlungsjahr und sind in der Größenordnung plausibel.

a. Angabe des pU

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; TGCT: tenosynoviale Riesenzelltumore

3.2.7 Versorgungsanteile

Der pU liefert keine quantitativen Angaben zu den Versorgungsanteilen von Vimseltinib. Er erwartet, dass ein großer Teil der Patientinnen und Patienten Vimseltinib als erstes zugelassenes Arzneimittel im Anwendungsgebiet erhalten werden. Laut pU erfolgt die Therapie mit Vimseltinib überwiegend ambulant. Er benennt außerdem 1 von 2 der in der Fachinformation [1] benannten Kontraindikationen (Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der sonstigen Bestandteile).

3.3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6)

Die Angaben des pU zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an den klinischen Prüfungen zu dem Arzneimittel, die an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V teilgenommen haben, befinden sich in Modul 3 A (Abschnitt 3.6) des Dossiers.

Der pU gibt über alle relevanten Studien (DCC-3014-01-001 und DCC-3014-03-001 [MOTION]) den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V mit 3,1 % an. Diese Angabe ist nachvollziehbar.

4 Literatur

Das Literaturverzeichnis enthält Zitate des pU, in denen ggf. bibliografische Angaben fehlen.

1. Deciphera Pharmaceuticals. ROMVIMZA 14mg/ -20 mg/ -30 mg Hartkapseln [online]. 09.2025 [Zugriff: 09.12.2025]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
2. Cencora. Incidence and Prevalence of Patients with TGCT in Germany; Analysis of German Claims Data to Support the Epidemiology Section (Module 3) of the AMNOG Dossier (§ 35a SGB V) vor Vimsetinib [unveröffentlicht]. 2025.
3. Statistisches Bundesamt. Bevölkerungsstand, Bevölkerung nach Altersgruppen 2011 bis 2023 in Prozent, Deutschland [online]. 2024 [Zugriff: 29.07.2025]. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Bevoelkerung/Bevoelkerungsstand/Tabellen/bevoelkerung-altersgruppen-deutschland.html>.
4. Statistisches Bundesamt. Fortschreibung des Bevölkerungsstandes; 12411-0005: Bevölkerung: Deutschland, Stichtag (Stichtag: 31.12.2024), Altersjahre [online]. 2024 [Zugriff: 30.07.2025]. URL: <https://www-genesis.destatis.de/datenbank/online/statistic/12411/table/12411-0005>.
5. Mastboom MJL, Verspoor FGM, Verschoor AJ et al. Higher incidence rates than previously known in tenosynovial giant cell tumors. *Acta Orthop* 2017; 88(6): 688–694. <https://doi.org/10.1080/17453674.2017.1361126>.
6. Ehrenstein V, Andersen SL, Qazi I et al. Tenosynovial Giant Cell Tumor: Incidence, Prevalence, Patient Characteristics, and Recurrence. A Registry-based Cohort Study in Denmark. *J Rheumatol* 2017; 44(10): 1476–1483. <https://doi.org/10.3899/jrheum.160816>.
7. Zyluk A, Owczarska A. Outcomes of surgery for giant cell tumors of the tendon sheath within the hand. *Pol Przegl Chir* 2020; 92(6): 16–21. <https://doi.org/10.5604/01.3001.0014.4136>.
8. Fotiadis E, Papadopoulos A, Svarnas T et al. Giant cell tumour of tendon sheath of the digits; A systematic review. *Hand* 2011; 6(3): 244-249. <https://doi.org/10.1007/s11552-011-9341-9>.
9. Stern S, McKenzie PF, Bernthal N et al. Localized and diffuse tenosynovial giant cell tumor: real-world results from a patient observational registry. *Future Oncol* 2025; 21(12): 1501–1510. <https://doi.org/10.1080/14796694.2025.2488635>.
10. Spierenburg G, Staals EL, Palmerini E et al. Active surveillance of diffuse-type tenosynovial giant cell tumors: A retrospective, multicenter cohort study. *Eur J Surg Oncol* 2024; 50(2): 107953. <https://doi.org/10.1016/j.ejso.2024.107953>.

11. Mastboom MJ, Planje R, van de Sande MA. The Patient Perspective on the Impact of Tenosynovial Giant Cell Tumors on Daily Living: Crowdsourcing Study on Physical Function and Quality of Life. *Interact J Med Res* 2018; 7(1): e4. <https://doi.org/10.2196/ijmr.9325>.
12. Chan AS, Katiyar V, Dy P et al. Updates on the Treatment of Tenosynovial Giant Cell Tumor. *Hematol Oncol Stem Cell Ther* 2023; 16(4): 307–315. <https://doi.org/10.56875/2589-0646.1032>.
13. Dangoor A, Seddon B, Gerrard C et al. UK guidelines for the management of soft tissue sarcomas. *Clinical Sarcoma Research* 2016; 6(1): 20. <https://doi.org/10.1186/s13569-016-0060-4>.
14. Mastboom MJL, Palmerini E, Verspoor FGM et al. Surgical outcomes of patients with diffuse-type tenosynovial giant-cell tumours: an international, retrospective, cohort study. *Lancet Oncol* 2019; 20(6): 877–886. [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(19\)30100-7](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(19)30100-7).
15. Siegel M, Bode L, Sudkamp N et al. Treatment, recurrence rates and follow-up of Tenosynovial Giant Cell Tumor (TGCT) of the foot and ankle-A systematic review and meta-analysis. *PLoS One* 2021; 16(12): e0260795. <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0260795>.
16. Bundesministerium für Gesundheit. Gesetzliche Krankenversicherung: Mitglieder, mitversicherte Angehörige und Krankenstand; Jahresdurchschnitt 2024 (Ergebnisse der GKV-Statistik KM1/13); Stand: 26. März 2025 [online]. 2025 [Zugriff: 21.01.2025]. URL: https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/Statistiken/GKV/Mitglieder_Versicherte/KM1_JD_2024.pdf.

Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen

Externe Sachverständige

Diese Dossierbewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines medizinisch-fachlichen Beraters) erstellt. Medizinisch-fachliche Beraterinnen oder Berater, die wissenschaftliche Forschungsaufträge für das Institut bearbeiten, haben gemäß § 139b Abs. 3 Satz 2 SGB V „alle Beziehungen zu Interessenverbänden, Auftragsinstituten, insbesondere der pharmazeutischen Industrie und der Medizinprodukteindustrie, einschließlich Art und Höhe von Zuwendungen“ offenzulegen. Das Institut hat von dem Berater ein ausgefülltes Formular „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ erhalten. Die Angaben wurden durch das speziell für die Beurteilung der Interessenkonflikte eingerichtete Gremium des Instituts bewertet. Es wurden keine Interessenkonflikte festgestellt, die die fachliche Unabhängigkeit im Hinblick auf eine Bearbeitung des vorliegenden Auftrags gefährden. Im Folgenden sind die Angaben zu Beziehungen zusammengefasst. Alle Informationen beruhen auf Selbstangaben der Person anhand des „Formblatts zur Offenlegung von Beziehungen“. Die in diesem Formblatt verwendeten Fragen befinden sich im Anschluss an diese Zusammenfassung.

Name	Frage 1	Frage 2	Frage 3	Frage 4	Frage 5	Frage 6	Frage 7
Weber, Markus	ja	nein	nein	ja	ja	nein	nein

Im „Formblatt zur Offenlegung von Beziehungen“ wurden folgende 7 Fragen gestellt:

Frage 1: Sind oder waren Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor bei einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband angestellt oder für diese / dieses / diesen selbstständig oder ehrenamtlich tätig bzw. sind oder waren Sie freiberuflich in eigener Praxis tätig?

Frage 2: Beraten Sie oder haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor eine Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. eine Klinik, eine Einrichtung der Selbstverwaltung, eine Fachgesellschaft, ein Auftragsforschungsinstitut), ein pharmazeutisches Unternehmen, einen Medizinproduktehersteller oder einen industriellen Interessenverband beraten (z. B. als Gutachter/-in, Sachverständige/r, in Zusammenhang mit klinischen Studien als Mitglied eines sogenannten Advisory Boards / eines Data Safety Monitoring Boards [DSMB] oder Steering Committees)?

Frage 3: Haben Sie innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor direkt oder indirekt von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband Honorare erhalten (z. B. für Vorträge, Schulungstätigkeiten, Stellungnahmen oder Artikel)?

Frage 4: Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft, einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband sogenannte Drittmittel erhalten (d. h. finanzielle Unterstützung z. B. für Forschungsaktivitäten, die Durchführung klinischer Studien, andere wissenschaftliche Leistungen oder Patentanmeldungen)? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

Frage 5: Haben Sie oder hat Ihr Arbeitgeber bzw. Ihre Praxis oder die Institution, für die Sie ehrenamtlich tätig sind, innerhalb des laufenden Jahres und der 3 Kalenderjahre davor sonstige finanzielle oder geldwerte Zuwendungen, z. B. Ausrüstung, Personal, Unterstützung bei der Ausrichtung einer Veranstaltung, Übernahme von Reisekosten oder Teilnahmegebühren für Fortbildungen / Kongresse erhalten von einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einer Einrichtung der Selbstverwaltung, einer Fachgesellschaft,

einem Auftragsforschungsinstitut), einem pharmazeutischen Unternehmen, einem Medizinproduktehersteller oder einem industriellen Interessenverband? Sofern Sie in einer größeren Institution tätig sind, genügen Angaben zu Ihrer Arbeitseinheit, z. B. Klinikabteilung, Forschungsgruppe.

Frage 6: Besitzen Sie Aktien, Optionsscheine oder sonstige Geschäftsanteile einer Einrichtung des Gesundheitswesens (z. B. einer Klinik, einem Auftragsforschungsinstitut), eines pharmazeutischen Unternehmens, eines Medizinprodukteherstellers oder eines industriellen Interessenverbands? Besitzen Sie Anteile eines sogenannten Branchenfonds, der auf pharmazeutische Unternehmen oder Medizinproduktehersteller ausgerichtet ist? Besitzen Sie Patente für ein pharmazeutisches Erzeugnis, ein Medizinprodukt, eine medizinische Methode oder Gebrauchsmuster für ein pharmazeutisches Erzeugnis oder ein Medizinprodukt?

Frage 7: Sind oder waren Sie jemals an der Erstellung einer medizinischen Leitlinie oder klinischen Studie beteiligt, die eine mit diesem Projekt vergleichbare Thematik behandelt/e? Gibt es sonstige Umstände, die aus Sicht von unvoreingenommenen Betrachtenden als Interessenkonflikt bewertet werden können, z. B. Aktivitäten in gesundheitsbezogenen Interessengruppierungen bzw. Selbsthilfegruppen, politische, akademische, wissenschaftliche oder persönliche Interessen?