

Retifanlimab (Plattenepithelkarzinom des Analkanals)

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

A decorative horizontal bar composed of 18 squares of varying shades of blue and grey. The word 'DOSSIERBEWERTUNG' is written in white capital letters on a dark blue background that spans across the middle of the bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G26-08

Version: 1.0

Stand: 25.06.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2269

DOI: 10.60584/G26-08

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Retifanlimab (Plattenepithelkarzinom des Analkanals) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

01.04.2026

Interne Projektnummer

G26-08

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G26-08>

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

Zitiervorschlag

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Retifanlimab (Plattenepithelkarzinom des Analkanals); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G26-08>.

Schlagwörter

Retifanlimab, Karzinom – Plattenepithel-, Analtumoren, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Retifanlimab, Carcinoma – Squamous Cell, Anus Neoplasms, Health Care Costs, Epidemiology

Medizinisch-fachliche Beratung

- Jochem Potenberg, Ev. Waldkrankenhaus, Berlin

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

Die 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.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Dorothee Ehlert
- Judith Kratel
- Anja Schwalm
- Pamela Wronski

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abbildungsverzeichnis	vi
Abkürzungsverzeichnis.....	vii
1 Hintergrund.....	1
2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	2
2.1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 A, Abschnitt 3.2).....	2
2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation.....	2
2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	2
2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU.....	9
2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten.....	12
2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	12
2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)..	12
2.2.1 Behandlungsdauer.....	13
2.2.2 Verbrauch	13
2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	13
2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	14
2.2.5 Jahrestherapiekosten	14
2.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	15
2.2.7 Versorgungsanteile.....	16
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	21

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	12
Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	15

Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	3

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
ESMO	European Society for Medical Oncology
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IARC	Internationale Agentur für Krebsforschung (International Agency for Research on Cancer)
ICD-10	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10 (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision)
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
NCCN	National Comprehensive Cancer Network
NIH	Nationales Krebsinstitut (National Cancer Institute)
pU	pharmazeutischer Unternehmer
RKI	Robert Koch-Institut
SCAC	Squamous Cell Carcinoma of the Anal Canal (Plattenepithelkarzinom des Analkanals)
SEER	Surveillance, Epidemiology, and End Results
SGB	Sozialgesetzbuch
UICC	Union for International Cancer Control
ZfKD	Zentrum für Krebsregisterdaten
TNM-Klassifikation	Klassifikation maligner Tumoren (Primärtumor, regionäre Lymphknoten und Fernmetastasen)

1 Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) beauftragte das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG), das Dossier des pharmazeutischen Unternehmers (pU) 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 Sozialgesetzbuch (SGB) V

Das Dossier wurde dem IQWiG am 01.04.2026 übermittelt.

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, über die Kosten der Therapie für die GKV sowie über den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V beschließt der G-BA.

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

2 Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

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

2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Das Plattenepithelkarzinom des Analkanals (SCAC) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

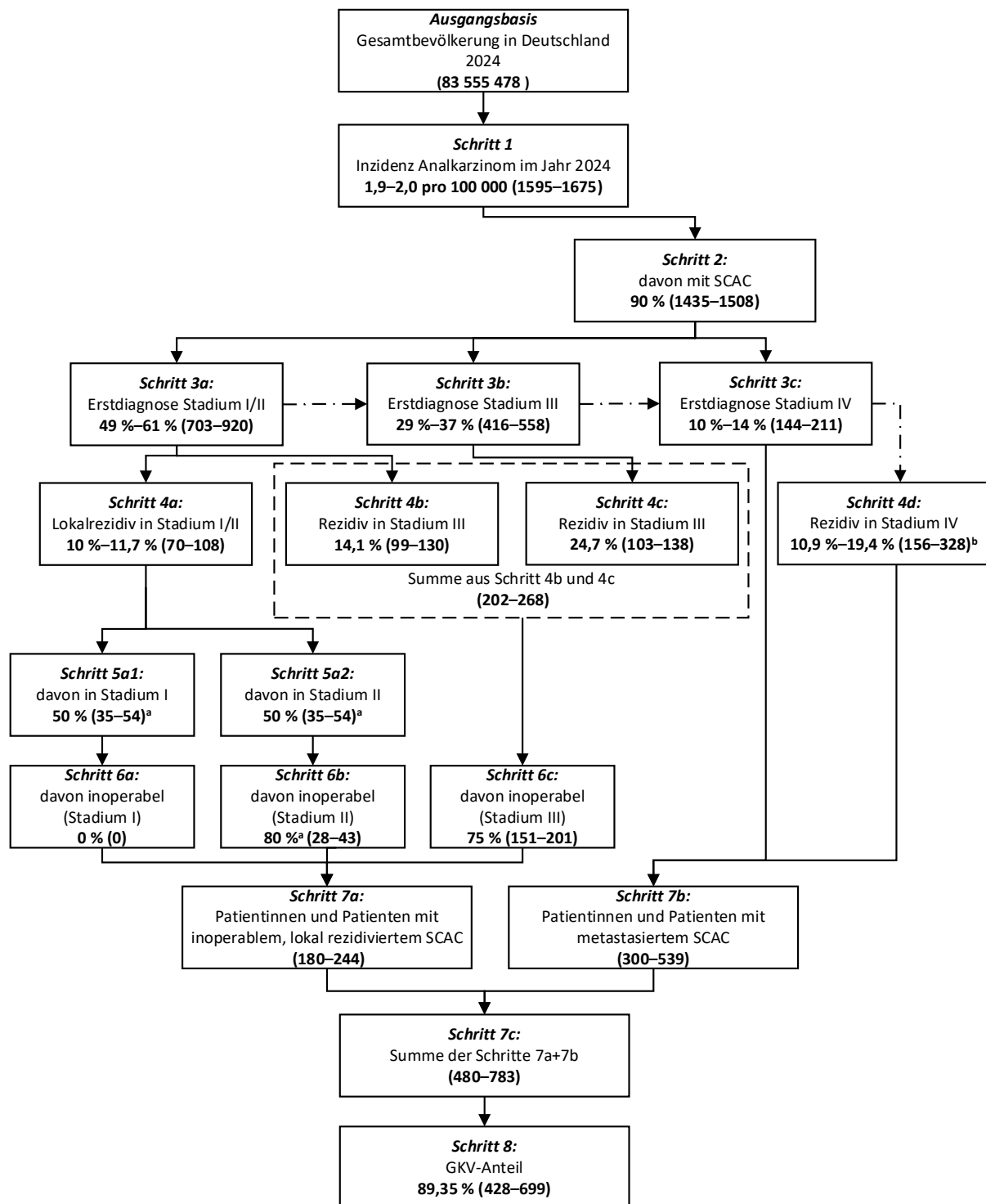
Die Zielpopulation charakterisiert er korrekt gemäß der Fachinformation [1]. Demnach wird Retifanlimab in Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel gemäß dem neu zugelassenen Anwendungsgebiet zur Erstlinienbehandlung von erwachsenen Patientinnen und Patienten mit metastasiertem oder inoperablem lokal rezidivierendem SCAC angewendet.

Ergänzend ist dem Abschnitt 5.1 der Fachinformation [1] und den dort beschriebenen Einschlusskriterien der Zulassungsstudie POD1UM-303 zu entnehmen, dass Patientinnen und Patienten vor der Studienteilnahme keine andere systemische Therapie als eine Radiosensitizer-Therapie oder eine neoadjuvante oder adjuvante Therapie erhalten hatten. Patientinnen und Patienten, die zuvor mit Programmed-Cell-Death-Ligand-1-Expression-gerichteten Therapien behandelt wurden, wurden nicht in die Studie aufgenommen. Dies deckt sich mit den Angaben des pU in seiner Herleitung.

2.1.2 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

2.1.2.1 Beschreibung des Vorgehens des pU

Der pU schätzt die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) 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

a. eigene Berechnung auf Basis der Angaben des pU

b. Der pU überträgt den Anteilswert der unteren Grenze auf die untere Grenze aus Schritt 2 und den Anteilswert der oberen Grenze auf die Summe der oberen Grenzen der Schritte 3a bis 3c.

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; SCAC: Plattenepithelkarzinom des Analkanals

Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Ausgangsbasis: Gesamtbevölkerung in Deutschland im Jahr 2024

Als Ausgangsbasis seiner Berechnung zieht der pU die Anzahl der Bevölkerung in Deutschland zum Stichtag des 30.09.2024 (83 555 478 Personen) auf Basis der Bevölkerungsfortschreibung (Grundlage: Zensus 2022) des Statistischen Bundesamtes heran [2].

Schritt 1: Inzidenz Analkarzinom im Jahr 2024

Zunächst schätzt der pU die Inzidenz des Analkarzinoms für das Jahr 2024 klassifiziert mit dem Diagnosecode C21 (Bösartige Neubildung des Anus und des Analkanals) gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision (ICD-10). Hierfür bildet er eine Spanne an Inzidenzraten von 1,9 bis 2,0 pro 100 000 Personen.

Für die untere Grenze stützt sich der pU auf die Publikation von Mignozzi et al. zu globalen Trends der Inzidenz und Mortalität von Analkarzinomen auf Basis einer Datenbank der Internationalen Agentur für Krebsforschung (IARC) mit nationalen und subnationalen bevölkerungsbasierten Krebsregisterdaten [3]. Der pU entnimmt für Deutschland die nach der Weltbevölkerung altersstandardisierten geschlechtsspezifischen Neuerkrankungsraten im Zeitraum von 2008 bis 2012 für Frauen (2,16 pro 100 000) und für Männer (1,65 pro 100 000).

Für die obere Grenze greift der pU auf die nach alter Europabevölkerung altersstandardisierten geschlechtsspezifischen Neuerkrankungsraten für das Jahr 2022 jeweils für Frauen (2,4 je 100 000 Personen) und für Männer (1,6 je 100 000 Personen) des Zentrums für Krebsregisterdaten (ZfKD) im Robert Koch-Institut (RKI) zurück [4].

Anschließend berechnet der pU für die untere und die obere Grenze jeweils einen Mittelwert der altersstandardisierten Neuerkrankungsraten – gewichtet nach dem Anteil weiblicher bzw. männlicher Personen in der Gesamtbevölkerung – und multipliziert sie nachfolgend mit der Anzahl der Bevölkerung in Deutschland im Jahr 2024 [2] (Ausgangsbasis). Er ermittelt so eine Anzahl von 1595 bis 1675 Neuerkrankten im Jahr 2024.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit SCAC

Weiterhin entnimmt der pU der S3-Leitlinie zu Diagnostik, Therapie und Nachsorge von Analkanal- und Analrandkarzinomen, dass das Plattenepithelkarzinom mit einem Anteilswert von über 90 % die häufigste Entität des Analkarzinoms darstellt [5]. Übertragen auf die Patientenzahl aus Schritt 1 ergibt dies eine Spanne von 1435 bis 1508 Neuerkrankten mit SCAC.

Schritt 3a bis 3c: Stadium bei Erstdiagnose

Der pU operationalisiert das laut Anwendungsgebiet lokal rezidierte bzw. metastasierte SCAC über Patientinnen und Patienten in den Stadien I bis III bzw. IV. Er verweist in Modul 3 A

auf die S3-Leitlinie Analkarzinom und die darin enthaltene Klassifikationen des American Joint Committee on Cancer (AJCC) und der Union for International Cancer Control (UICC) [5].

Schritt 3a: Stadium I/II

Zur Ermittlung der Anteilswerte der Patientinnen und Patienten in Schritt 3a bildet er pU den Umkehrschluss aus den beiden nachfolgenden Schritten (siehe Beschreibung unten). Dementsprechend geht er davon aus, dass 49 % bis 61 % der Patientinnen und Patienten auf das Stadium I/II entfallen.

Diese Spanne überträgt der pU auf Schritt 2 und ermittelt 703 bis 920 Patientinnen und Patienten mit neudiagnostiziertem SCAC in Stadium I/II.

Schritt 3b Stadium III

Für den Anteil der Patientinnen und Patienten mit SCAC, welche sich bei Erstdiagnose im Stadium III befinden, setzt der pU auf Basis von 2 Publikationen [6,7] eine Spanne von 29 % bis 37 % an. Er operationalisiert Stadium III über Patientinnen und Patienten, welche zum Zeitpunkt der Diagnose eine Ausbreitung in regionäre Lymphknoten aufweisen.

Für die untere Grenze zieht der pU Empfehlungen des National Comprehensive Cancer Networks (NCCN) zu Analkarzinomen heran [6], in der anhand der Datenbank des US-amerikanischen Surveillance-Epidemiology-and-End-Results(SEER)-Programms für den Zeitraum 1999 bis 2006 Angaben zu der Stadienverteilung zum Diagnosezeitpunkt bestimmt wurden. Ungefähr 29 % der Patientinnen und Patienten wiesen eine Erkrankung auf, welche sich bereits auf die regionalen Lymphknoten ausgebreitet hatte [6].

Der Anteilswert für die obere Grenze basiert auf einer Veröffentlichung des National Cancer Institutes (NIH) zum Analkarzinom [7], nach welcher, ebenfalls auf Basis von Daten des SEER-Programms im Zeitraum von 2015 bis 2021, bei 37 % der Patientinnen und Patienten bei Diagnose bereits eine Ausbreitung auf die regionalen Lymphknoten vorlag.

Übertragen auf Schritt 2 berechnet der pU eine Spanne von 416 bis 558 Neuerkrankten mit SCAC in Stadium III.

Schritt 3c: Stadium IV

Für den Anteil der Patientinnen und Patienten mit einer Erstdiagnose im Stadium IV setzt der pU auf Basis von 3 Publikationen [6-8] eine Spanne von 10 % bis 14 % an.

Für die obere Grenze verweist der pU auf die Empfehlungen der European Society for Medical Oncology (ESMO) zu Diagnose, Behandlung und Nachsorge von Analkarzinomen [8], in welcher beschrieben wird, dass ungefähr 10 % der Patientinnen und Patienten bei Erstdiagnose bereits Metastasen aufweisen.

Für die obere Grenze greift er erneut auf die Veröffentlichung des NIH [7] zurück und entnimmt einen Anteilswert von 14 % für Patientinnen und Patienten, bei welchen zum Diagnosezeitpunkt bereits Fernmetastasen vorlagen.

Übertragen auf Schritt 2 berechnet der pU 144 bis 211 Patientinnen und Patienten mit neudiagnostiziertem SCAC in Stadium IV.

Schritt 4a bis 4d: Patientinnen und Patienten mit Rezidiv

Um die Anzahl der Patientinnen und Patienten mit einer rezidivierenden Erkrankung zu ermitteln, bezieht der pU die Rückfallquoten der jeweiligen Stadien mit ein.

Schritt 4a: Rezidiv in Stadium I/II

Der pU gibt an, dass 10 % bis 11,7 % der Patientinnen und Patienten mit einem lokalisierten SCAC ein lokales Rezidiv ohne Lymphknotenbeteiligung oder Fernmetastasen ausweisen. Dafür stützt er sich auf 2 Publikationen [9,10].

Die untere Grenze der Spanne entnimmt der pU einer retrospektiven Kohortenstudie von Maccabe et al. [10] zu 367 Patientinnen und Patienten mit einem Anal-Plattenepithelkarzinom, bei welchen im Zeitraum von 2007 bis 2019 in 2 britischen Universitätskrankenhäusern eine lokale Exzision durchgeführt wurde. In einer Teilpopulation aus 10 Patientinnen und Patienten mit SCAC der Tumorgröße T1 oder T2 und ohne Lymphknotenmetastasen gemäß der Klassifikation maligner Tumoren (Primärtumor, regionäre Lymphknoten und Fernmetastasen [TNM]), die mit einer R1-Resektion sowie einer adjuvanten Therapie (Chemo- oder Radiotherapie) behandelt wurden, entwickelte anschließend 1 Person (10 %) ein lokoregionales Rezidiv. Die mediane Nachbeobachtungszeit für die gesamte Studienpopulation betrug 44 Monate.

Für die obere Grenze der Spanne verweist der pU auf eine retrospektive Studie von Arana et al. [9], bei welcher die Krankenakten von 17 Patientinnen und Patienten nach einer vollständigen Resektion eines Anal-Plattenepithelkarzinoms in Stadium I in einem französischen Krankenhaus im Zeitraum 2007 bis 2009 u. a. auf das Auftreten von Lokalrezidiven untersucht wurden. Im Fall eines unzureichenden chirurgischen Sicherheitsabstands um den Tumor umfasste die Behandlung zudem eine adjuvante Strahlentherapie. Insgesamt trat bei 2 Patientinnen und Patienten (11,7 %) ein lokales Rezidiv auf. Die mediane Nachbeobachtungszeit betrug 45 Monate.

Übertragen auf die Patientinnen und Patienten in Stadium I/II bei Erstdiagnose aus Schritt 3a ergeben sich 70 bis 108 Patientinnen und Patienten mit einem Rezidiv ohne Lymphknotenbeteiligung oder Fernmetastasen in Stadium I/II.

Schritte 4b und 4c: Rezidiv in Stadium III (von Stadium I/II bzw. Stadium III)

Der pU entnimmt die Anteilswerte für ein Rezidiv in das Stadium III einer retrospektiven Kohortenstudie von Shakir et al. [11], bei welcher die Krankenakten von Patientinnen und Patienten mit einem Anal-Plattenepithelkarzinom analysiert wurden. Eingeschlossen wurden insgesamt 385 Patientinnen und Patienten, die eine Behandlung mit kurativer Intention mit einer kombinierten Radiochemotherapie zwischen Februar 2013 und Februar 2018 an 5 britischen Zentren erhielten. Die mediane Nachbeobachtungszeit betrug 24 Monate.

Bei 14,1 % der Patientinnen und Patienten, die zu Beginn keinen Befall der Lymphknoten aufwiesen, trat innerhalb von 3 Jahren ein regionales Rezidiv auf (Schritt 4b). Innerhalb desselben Zeitraums trat bei 24,7 % jener Patientinnen und Patienten, bei welchen bereits zu Beginn ein Lymphknotenbefall festgestellt wurde, ein regionales Rezidiv auf (Schritt 4c).

Durch das Übertragen des entsprechenden Anteilswertes auf die Anzahl der Patientinnen und Patienten in Stadium I/II bei Erstdiagnose aus Schritt 3a ergeben sich 99 bis 130 Patientinnen und Patienten, die ein Rezidiv in Stadium III erleiden (Schritt 4b), während sich ausgehend von den Patientinnen und Patienten in Stadium III (Schritt 3b) bei Erstdiagnose eine Anzahl von 103 bis 138 Patientinnen und Patienten ergibt (Schritt 4c).

Der pU bildet die Summe aus den Schritten 4b und 4c und gibt insgesamt 202 bis 268 Patientinnen und Patienten mit einem Rezidiv in Stadium III an.

Schritt 4d: Rezidiv in Stadium IV

Für die Bestimmung der Patientinnen und Patienten, welche im Verlauf ein Rezidiv mit Fernmetastasen entwickeln (Stadium IV), greift der pU auf 4 Publikationen zurück [11-14] und bildet auf dieser Basis eine Spanne von 10,9 % bis 19,4 %.

Für die untere Grenze verweist der pU erneut auf die Studie von Shakir et al. [11] und entnimmt dieser einen Anteilswert von 10,9 % für eine 3-Jahres-Fernrezidivrate. Ein Ausschlusskriterium der Studie war u. a. das Vorliegen von Metastasen bei Diagnosestellung.

Für die obere Grenze zieht der pU eine multizentrische europäische randomisierte kontrollierte Studie von Bartelink et al. [13] heran, in welcher im Zeitraum zwischen 1987 und 1994 insgesamt 103 therapienaive Patientinnen und Patienten, die ein Analkarzinom im Stadium T3-4N0-3 oder T1-2N1-3 aufwiesen und eine Radio- oder Radiochemotherapie erhielten, untersucht wurden. Von diesen wiesen 19,4 % der Patientinnen und Patienten entweder lokoregionäre sowie Fernmetastasen oder nur Fernmetastasen auf.

Anschließend überträgt der pU den Anteilswert der unteren Grenze auf die untere Grenze aus Schritt 2 (alle Patientinnen und Patienten mit SCAC) und den Anteilswert der oberen Grenze auf die Summe der oberen Grenzen der Schritte 3a bis 3c (Patientinnen und Patienten in den

Stadien I/II, III und IV). Er ermittelt so 156 bis 328 Patientinnen und Patienten mit Rezidiv in Stadium IV.

Schritte 5a1 und 5a2: Aufteilung der Patientinnen und Patienten mit Lokalrezidiv in Stadium I und Stadium II

Der pU teilt vorbereitend für Schritt 6a und 6b die Patientenpopulation aus Schritt 4a (Rezidiv in Stadium I/II) auf in diejenigen mit Rezidiv in das Stadium I (Schritt 5a1) und diejenigen mit Rezidiv in das Stadium II (Schritt 5a2). Er beschreibt, dass er aufgrund fehlender Daten zur Verteilung der Rezidive auf die Einzelstadien I und II vereinfachend jeweils 50 % als Verteilung annimmt. Übertragen auf den Schritt 4a ergeben sich laut pU jeweils 35 bis 54 Patientinnen und Patienten in Stadium I (Schritt 5a1) bzw. Stadium II (Schritt 5a2).

Schritte 6a bis 6c Patientinnen und Patienten mit inoperabler Erkrankung nach Rezidiv

Anschließend ermittelt der pU die Anzahl der Patientinnen und Patienten, bei welchen eine operative Entfernung von Tumoren nach einem Rezidiv nicht mehr möglich ist. Er gibt an, mangels belastbarer publizierter Daten zum Anteil inoperabler SCAC nach Rezidiv Experteneinschätzungen herangezogen zu haben.

Schritt 6a: Inoperables Rezidiv in Stadium I

Für Patientinnen und Patienten in Stadium I geht der pU davon aus, dass die Rezidive weitgehend operabel sind. Er trifft die Annahme, dass 0 % dieser Patientinnen und Patienten ein inoperables Rezidiv aufweisen somit nicht Teil der Zielpopulation sind.

Schritt 6b: Inoperables Rezidiv in Stadium II

Für die Berechnung gibt an, dass er nach der Aufteilung des gepoolten Stadium bei ca. 20 % der Personen in Stadium II davon ausgeht, dass deren Rezidiv inoperabel ist. Abweichend von seiner Beschreibung überträgt er einen Anteilswert von 80 % (eigene Berechnung) auf den vorherigen Schritt und berechnet 28 bis 43 Patientinnen und Patienten mit einem inoperablen Rezidiv.

Schritt 6c: Inoperables Rezidiv in Stadium III

Für Patientinnen und Patienten mit einem Rezidiv in Stadium III (Patientenpopulation aus den Schritten 4b und Schritt 4c) wird laut pU angenommen, dass etwa 75 % (151 bis 201 Patientinnen und Patienten) eine inoperable Erkrankung aufweisen.

Schritte 7a bis 7c: Summenbildung

Schritt 7a: Patientinnen und Patientinnen mit inoperablem, lokal rezidiviertem SCAC (Summe aus den Schritten 6a bis 6c)

Der pU bildet die Summe aus den Schritten 6a bis 6c und gibt insgesamt 180 bis 244 Patientinnen und Patienten mit inoperablem, lokal rezidiviertem SCAC an.

Schritt 7b: Patientinnen und Patientinnen mit metastasiertem SCAC (Summe aus den Schritten 3c und 4d)

Der pU bildet die Summe aus den Schritten 3c und 4d und gibt insgesamt 300 bis 539 Patientinnen und Patienten mit metastasiertem SCAC an.

Schritt 7c: Summe der Schritte 7a und 7b

Anschließend bildet der pU die Summe der Schritte 7a und 7b und berechnet insgesamt 480 bis 783 Patientinnen und Patienten mit metastasiertem oder inoperablem lokal rezidivierendem SCAC.

Schritt 8: GKV-Zielpopulation

Unter Berücksichtigung eines erwarteten GKV-Anteils unter den Betroffenen von 89,35 % [2,15] ermittelt der pU eine Anzahl von 428 bis 699 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch weitgehend nachvollziehbar. Insgesamt sind die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation tendenziell unterschätzt. Trotz vieler Unsicherheitsaspekte und gegenläufiger Effekte ist dies insbesondere auf die in Schritt 1 zu niedrig angesetzte Inzidenz des Analkarzinoms zurückzuführen. Die maßgeblichen Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden erläutert.

Zu Schritt 1: Inzidenz Analkarzinom im Jahr 2024

Der pU zieht für die Schätzung der unteren Grenze der Inzidenz des Analkarzinoms (ICD-10-Code C21) die altersstandardisierten Raten nach Weltstandardbevölkerung und für die obere Grenze die altersstandardisierten Raten nach alter Europabevölkerung pro 100 000 Personen heran.

Sowohl die Weltstandardbevölkerung [16] als auch die alte Europastandardbevölkerung [17] weisen deutlich höhere Anteile in jüngeren Altersgruppen bzw. deutlich geringere Anteile in älteren Altersgruppen auf als die aktuelle Bevölkerung in Deutschland [2]. Durch die Altersverteilung der Neuerkrankungen gemäß dem Diagnosecode C21 (Auftreten eher bei älteren Personen) ist davon auszugehen, dass sich dieser Unterschied in den Gesamtinzidenzraten niederschlägt. Dies ist auch daran zu erkennen, dass die rohen Inzidenzraten, die dem aktuellen Bericht „Krebs in Deutschland für 2021–2023“ des RKI zu entnehmen sind, deutlich höher liegen als die altersstandardisierten Inzidenzraten in dem RKI-Bericht [18].

Während der pU beim Diagnosecode C21 von einer jährlichen Inzidenz in Höhe 1595 bis 1675 Neuerkrankungen ausgeht, wird die geschätzte Inzidenz des Analkarzinoms im Jahr 2023 im aktuellen RKI-Bericht mit 2560 Neuerkrankungen ausgewiesen [18].

Der pU setzt zur Berechnung der Zielpopulation ausschließlich die Inzidenz aus dem Jahr 2024 an. Unter Berücksichtigung der Schritte 4a bis 4d (Rezidiv in Stadium I/II, III oder IV) ist unklar, ob bei alleiniger Betrachtung der Inzidenz im Jahr 2024 und die in den herangezogenen Publikationen zugrunde liegenden Beobachtungszeiträume ausreichend sind, um sowohl alle Patientinnen und Patienten mit Rezidiv und Erstdiagnose im Betrachtungsjahr als auch solche mit Erstdiagnose in den Vorjahren und Rezidiv im Betrachtungsjahr zu erfassen. Insgesamt ist davon auszugehen, dass die Angabe des pU zur Inzidenz eine deutliche Unterschätzung darstellt.

Zu Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit SCAC

In der Literatur wird allgemein beschrieben, dass das Plattenepithelkarzinom die am meisten verbreitete Entität des Analkarzinoms darstellt [4,8,19]. Der pU entnimmt der S3-Leitlinie für das SCAC eine Angabe eines Anteilswerts von 90 %, welche dort lediglich beschrieben wird, ohne Primärquellenangabe [5].

Zu Schritt 3a: Stadium I/II bei Erstdiagnose

Durch Bildung eines Umkehrschlusses sind die Anteilswerte der Schritte 3a bis 3c insofern voneinander abhängig, als dass sie in Summe 100 % ergeben müssen. Davon abweichend ergeben sich in der Herleitung des pU die Summen der unteren Grenzen 88 % und die Summen der oberen Grenzen 112 %. Bei korrekter Übertragung der jeweiligen Gegenwahrscheinlichkeiten der Anteilsspanne auf die untere Grenze des vorherigen Schrittes (und andersherum) ergibt sich eine engere Spanne der Patientenzahlen.

Zu den Schritten 3b und 4b bis 4c: Stadium III bei Erstdiagnose und Rezidiv

Die Patientinnen und Patienten, welche sich bei Erstdiagnose bereits in Stadium III befinden, operationalisiert der pU über diejenigen, welche bei Diagnose bereits eine Ausbreitung in regionäre Lymphknoten aufweisen. Es ist darauf hinzuweisen, dass Patientinnen und Patienten, auch wenn sie keine regionären Lymphknoten aufweisen, in Stadium III fallen können (beispielsweise wird das TNM-Stadium T4N0M0 dem AJCC-Stadium IIIb der 8. Version zugeordnet) [5]. Diese Patientinnen und Patienten entfallen durch das Vorgehen des pU in das gepoolte Stadium I/II (siehe Schritte 3a und 4a). Dies führt insgesamt zu einer tendenziellen Unterschätzung.

Zu Schritt 4a: Lokalrezidiv in Stadium I/II

Die Ergebnisse der (Teil-)Populationen, welche der pU aus den Studien von Maccabe et al. [10] sowie Arana et al. [9] heranzieht, basieren auf einer geringen Anzahl an Patientinnen und

Patienten (n = 10 bzw. n = 17) an 2 britischen Universitätskrankenhäusern bzw. 1 französisches Krankenhaus, weswegen die Übertragbarkeit des jeweils darauf basierenden Anteilswertes unklar ist.

Zu den Schritten 4b und 4c: Rezidiv in Stadium III (von Stadium I/II bzw. Stadium III)

Für die Studie von Shakir et al. [11] ist darauf hinzuweisen, dass unklar ist, ob den Anteilswerten auch Patientinnen und Patienten ohne Ansprechen auf eine Vortherapie (ohne eine Remission) zugrunde liegen.

Zu Schritt 4d: Rezidiv in Stadium IV

Die obere Grenze des Schritts überträgt der pU, anders als angegeben, nicht auf Schritt 2, sondern auf die Summe der jeweiligen Obergrenzen der Schritte 3a bis 3c. Bei Anwendung des Anteilswerts auf Schritt 2 ergeben sich aufgrund der fehlerhaften Aufteilung der Patientinnen und Patienten auf die verschiedenen Stadien bei Erstdiagnose (siehe Schritt 3a) etwas niedrigere Zahlen für die obere Grenze des Schritts.

Es ist darauf hinzuweisen, dass die Angaben der Studie von Shakir et al. [11] auf Patientinnen und Patienten basieren, bei welchen zum Zeitpunkt der Diagnosestellung keine Metastasen vorlagen. Die Übertragung auf einen vorherigen Schritt, der Neuerkrankte im Stadium IV umfasst, ist unsicher. Zudem werden Patientinnen und Patienten durch das methodische Vorgehen des pU über die Schritte 4d doppelt berücksichtigt, da sie sowohl bei Neudiagnose bereits Metastasen (Stadium IV) aufweisen, als auch im Krankheitsverlauf ein Rezidiv ins Stadium IV entwickeln. Dies stellt einen überschätzenden Faktor dar.

Zu den Schritten 5a1 und 5a2 sowie den Schritten 6a bis 6c: Aufteilung in Stadium I und II sowie inoperables Rezidiv

Zum einen trifft der pU die Annahme, dass jeweils 50 % der Patientinnen und Patienten mit Rezidiv aus dem gepoolten Stadium I/II auf die beiden Stadien entfallen (siehe Schritt 5a1 und 5a2). Zum anderen gibt der pU an, dass er mangels belastbarer publizierter Daten zum Anteil inoperabler Rezidive für die Schritte 6a bis 6c Experteneinschätzungen herangezogen hat, legt jedoch keine weitere Dokumentation zu diesen Einschätzungen (z. B. einfache Konsultation oder Durchführung eines strukturierten Konsensusverfahrens) bzw. zu den befragten Personen (z. B. Anzahl, Profession, Fachrichtung etc.) vor. Alle aufgeführten Schritte sind mit Unsicherheit behaftet.

Darüber hinaus ist die Berechnung des pU der Patientinnen und Patienten, welche ein inoperables Rezidiv in Stadium II entwickeln (Schritt 6b), auf Basis seiner Angaben nicht nachvollziehbar. Seine Angabe (28 bis 43 Patientinnen und Patienten) scheint bei diesem Vorgehen überschätzt zu sein.

Übergreifender Bewertungsaspekt

Einzelne vom pU verwendete Publikationen basieren auf einer älteren Datenbasis (siehe Schritte 3b und 4d) [6,13]. Es ist fraglich, ob sie aufgrund ihrer eingeschränkten Aktualität auf den heutigen Versorgungskontext übertragbar sind. Zudem basieren die in einzelnen Teilschritten der Herleitung herangezogenen Anteilswerte auf Populationen, welche sich nicht ausschließlich auf Erkrankte mit SCAC beziehen, sondern zum Teil auf z. B. Patientinnen und Patienten Analrandkarzinom oder andere Entitäten als dem Plattenepithelkarzinom (siehe Schritte 3a bis 3c oder 4a [7-9,16]). Dies führt zu Unschärfe. In diesem Zuge ist darauf hinzuweisen, dass mittlerweile eine 9. Version der Stadieneinteilung des Analkarzinom der AJCC verfügbar ist [20]. Die vom pU herangezogenen Anteilswerte basieren auf älteren Versionen.

2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU geht für die kommenden Jahre von einer durchschnittlichen jährlichen Wachstumsrate von 2,48 % der Inzidenz des Analkarzinoms aus. Anhand dieser prognostiziert er für das Jahr 2030 eine GKV-Zielpopulation von 519 bis 835 Patientinnen und Patienten.

2.1.2.4 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
Retifanlimab in Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel	erwachsene Patientinnen und Patienten mit metastasiertem oder inoperablem lokal rezidivierendem SCAC; Erstlinienbehandlung	428–699	Insgesamt sind die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation tendenziell unterschätzt. Trotz vieler Unsicherheitsaspekte und gegenläufiger Effekte ist dies insbesondere auf eine zu niedrig angesetzte Inzidenz des Analkarzinoms zurückzuführen.
a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; SCAC: Plattenepithelkarzinom des Analkanals			

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

Der pU weist die Kosten für Retifanlimab sowie die Kosten für die Kombinationswirkstoffe jeweils separat aus.

2.2.1 Behandlungsdauer

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer von Retifanlimab in Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel entsprechen der Fachinformation sowie den dortigen Angaben der in Abschnitt 5.1 beschriebenen Zulassungsstudie POD1UM-303 [1].

Demnach wird Retifanlimab in Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel bei einer 4-wöchigen Zykluslänge für 6 Zyklen verabreicht. Die nachfolgende Monotherapie mit Retifanlimab soll bis zum Fortschreiten der Erkrankung oder bis zum Auftreten inakzeptabler Toxizität bis zu 1 Jahr lang fortgesetzt werden [1]. Dementsprechend legt der pU für Retifanlimab eine Behandlungsdauer von 13 Zyklen (Gabe jeweils an Tag 1) und für Carboplatin (Gabe jeweils an Tag 1) sowie Paclitaxel (Gabe jeweils an Tag 1, 8 und 15) 6 Zyklen zugrunde [1].

2.2.2 Verbrauch

Die Angaben des pU zum Verbrauch von Retifanlimab, Carboplatin und Paclitaxel entsprechen weitestgehend der Fachinformation von Retifanlimab sowie den dortigen Angaben der in Abschnitt 5.1 beschriebenen Zulassungsstudie POD1UM-303 [1].

Für Carboplatin ist in Abschnitt 5.1 der Fachinformation von Retifanlimab eine Ziel-Area under the Curve (AUC) von 5 mg/ml angegeben. Der pU setzt die in der Zulassungsstudie über die Calvert-Formel berechnete, basierend auf einer Ziel-AUC von 5 mg/ml und einem maximalen Wert für die Kreatininclearance 125 ml/min, maximale Dosis von 750 mg an. Dies ist im Abgleich mit dem Studienprotokoll [21] und Studienbericht [22] der Zulassungsstudie nachvollziehbar. Ausgehend von einer Ziel-AUC von 5 mg/ml sowie den durchschnittlichen Annahmen von Männern und Frauen aus den Jahren 2024/2025 zum Alter, Körpergewicht gemäß (Mikro-)Zensus und der mittleren Norm-Serumkreatininkonzentration unter Einbezug der Abschätzung der Nierenfunktion mit der Cockcroft-Gault-Formel ergibt sich ein etwas geringerer exakter Verbrauch pro Gabe. Allerdings ergibt sich unter Berücksichtigung von Verwurf insgesamt kein abweichender Gesamtverbrauch.

Der Verbrauch von Paclitaxel richtet sich nach der Körperoberfläche [23]. Für seine Berechnungen legt der pU die DuBois-Formel und die durchschnittlichen Körpermaße Erwachsener gemäß den Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2021 zugrunde [24].

2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Retifanlimab in Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel geben korrekt den Stand der Lauer-Steuer vom 01.03.2026 wieder.

Hierbei ist jedoch zu beachten, dass der pU für Carboplatin (Präparat à 150 mg) und jeweils für Paclitaxel Importpräparate heranzieht. Diese sollen gemäß Dossievorlage nicht berücksichtigt werden. Zudem kombiniert der pU für Carboplatin und Paclitaxel Präparate verschiedener Hersteller. Bei Ausschluss von Importarzneimitteln sowie der ausschließlichen Kombination von Präparaten des gleichen Herstellers ergeben sich für Carboplatin sowie Paclitaxel höhere Kosten als vom pU angegeben.

2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU berücksichtigt für Retifanlimab, Carboplatin und Paclitaxel Kosten einer Infusion gemäß Gebührenordnungsposition 02100 bzw. 02101 des Einheitlichen Bewertungsmaßstabs der Kassenärztlichen Bundesvereinigung mit dem Stand 1. Quartal 2026 pro Behandlungstag [1,23,25]. Dabei ist zu beachten, dass bei Betrachtung der Gesamtdauer pro Behandlungstag, an denen alle 3 Wirkstoffe der Kombinationstherapie verabreicht werden, eine Kostenpauschale für praxisklinische Betreuung anfallen kann. Die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen können daher für diese Tage abweichen.

Zudem berücksichtigt der pU für Paclitaxel Kosten einer Prämedikation, welche nachvollziehbar sind [23]. Für Carboplatin können weitere Kosten anfallen, z. B. für die regelmäßige Bestimmung eines Blutbilds [25], welche der pU nicht berücksichtigt.

Die Angaben des pU zu den Kosten für die Herstellung parenteraler Lösungen gemäß Hilfstaxe sind für Retifanlimab, Carboplatin und Paclitaxel zum Stand 01.06.2025 plausibel [26].

2.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Retifanlimab Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 167 351,45 €. Zudem ermittelt der pU für die Kombinationswirkstoffe Carboplatin und Paclitaxel Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 2872,68 € bzw. 10 000,82 €. Sie bestehen jeweils aus Arzneimittelkosten, Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen und Kosten gemäß Hilfstaxe. Die Arzneimittelkosten für Retifanlimab sowie Carboplatin sind (in der Größenordnung) plausibel. Die Arzneimittelkosten für Paclitaxel sind unterschätzt. Die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen können abweichen. Die Kosten zur Herstellung parenteraler Zubereitungen gemäß Hilfstaxe sind für beide Wirkstoffe plausibel.

2.2.6 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	Jahres-therapiekosten in € ^a	Kommentar
Retifanlimab in Kombination mit	erwachsene Patientinnen und Patienten mit metastasiertem oder inoperablem lokal rezidivierendem SCAC; Erstlinienbehandlung	165 991,67	59,78	1300,00	167 351,45	Die Arzneimittelkosten für Retifanlimab sowie Carboplatin sind (in der Größenordnung) plausibel. Die Arzneimittelkosten für Paclitaxel sind unterschätzt. Die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen können abweichen. Die Kosten zur Herstellung parenteraler Zubereitungen gemäß Hilfstaxe sind plausibel.
Carboplatin		2146,56	126,12	600,00	2872,68	
Paclitaxel		7626,06	574,76	1800,00	10 000,82	
<p>a. Angabe des pU GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; SCAC: Plattenepithel des Analkanalkarzinoms</p>						

2.2.7 Versorgungsanteile

Der pU äußert sich zu Kontraindikationen [1]. Zudem geht er davon aus, dass die Behandlung sowohl ambulant als auch stationär erfolgen kann. Insgesamt ist laut pU eine quantitative Einschätzung der Versorgungsanteile für Retifanlimab in Kombination mit Carboplatin und Paclitaxel nicht möglich.

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

Der pU gibt in Modul 3 A (Abschnitt 3.6) an, dass der Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V unter 5 % liegt und er deshalb auf eine detaillierte Darstellung hierzu verzichtet. Dementsprechend liefert er keine weiteren Angaben. Die Angaben zum Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V sind folglich nicht prüfbar.

4 Literatur

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

1. Incyte. Zynyz 500 mg Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung [online]. 03.2026 [Zugriff: 21.05.2026]. URL: <https://www.fachinfo.de>.
2. Destatis. Bevölkerungsstand Bevölkerung nach Nationalität und Geschlecht 2024. 2025.
3. Mignozzi S, Santucci C, Malvezzi M et al. Global trends in anal cancer incidence and mortality. *Eur J Cancer Prev* 2024; 33(2): 77–86.
<https://doi.org/10.1097/cej.0000000000000842>.
4. ZfKd. Analkrebs (Analkarzinom) ICD-10 C21 [Stand: 22.10.2024]. 2022.
5. Leitlinienprogramm Onkologie. (Deutsche Krebsgesellschaft, Deutsche Krebshilfe, AWMF): Erweiterte S3-Leitlinie Palliativmedizin für Patienten mit einer nicht-heilbaren Krebserkrankung, Langversion 2.2, AWMF-Registernummer: 128/001OL, (abgerufen am: 28.07.2025). 2020.
6. Benson AB, Venook AP, Al-Hawary MM et al. Anal Carcinoma, Version 2.2023, NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. *J Natl Compr Canc Netw* 2023; 21(6): 653–677.
<https://doi.org/10.6004/jnccn.2023.0030>.
7. Nih. Cancer Stat Facts: Anal Cancer [online]. 2025 [Zugriff: 15.01.2026]. URL: <https://seer.cancer.gov/statfacts/html/anus.html>.
8. Rao S, Guren MG, Khan K et al. Anal cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up. *Ann Oncol* 2021; 32(9): 1087–1100.
<https://doi.org/10.1016/j.annonc.2021.06.015>.
9. Arana R, Fléjou JF, Si-Mohamed A et al. Clinicopathological and virological characteristics of superficially invasive squamous-cell carcinoma of the anus. *Colorectal Dis* 2015; 17(11): 965–972. <https://doi.org/10.1111/codi.12951>.
10. Maccabe TA, Parwaiz I, Longman RJ et al. Outcomes following local excision of early anal squamous cell carcinomas of the anal canal and perianal margin. *Colorectal Dis* 2021; 23(3): 689–697. <https://doi.org/10.1111/codi.15424>.
11. Shakir R, Adams R, Cooper RDA et al. Patterns and predictors of relapse following radical chemotherapy delivered using intensity modulated radiation therapy with a simultaneous integrated boost in anal squamous cell carcinoma. 2019.
12. Gunderson LI, Winter KA, Ajani JA et al. Long-term update of US GI intergroup RTOG 98-11 phase III trial for anal carcinoma: survival, relapse, and colostomy failure with concurrent chemoradiation involving fluorouracil/mitomycin versus fluorouracil/cisplatin. 2012.
<https://doi.org/10.1200/JCO.2012.43.8085>.

13. Bartelink H, Roelofsen F, Eschwege F et al. Concomitant radiotherapy and chemotherapy is superior to radiotherapy alone in the treatment of locally advanced anal cancer: results of a phase III randomized trial of the european organization for research and treatment of cancer radiotherapy and gastrointestinal cooperative groups. 1997. <https://doi.org/10.1200/JCO.1997.15.5.2040>.
14. Northover J, Glynn-Jones R, Sebag-Montefiore D et al. Chemoradiation for the treatment of epidermoid anal cancer: 13-year follow-up of the first randomised UKCCCR anal cancer trial (ACT I). 2010.
15. Gkv. Zahlen und Grafiken [online]. 2025 [Zugriff: 25.04.2025]. URL: https://www.gkv-spitzenverband.de/gkv_spitzenverband/presse/zahlen_und_grafiken/zahlen_und_grafiken.jsp.
16. Surveillance, Epidemiology, and End Results. World (WHO 2000-2025) Standard Population Data [online]. 2026 [Zugriff: 08.05.2026]. URL: <https://seer.cancer.gov/stdpopulations/world.who.html>.
17. Eurostat. Revision of the European Standard Population; Report of Eurostat's task force [online]. 2013 [Zugriff: 28.01.2026]. URL: <https://ec.europa.eu/eurostat/documents/3859598/5926869/KS-RA-13-028-EN.PDF.pdf/e713fa79-1add-44e8-b23d-5e8fa09b3f8f?t=1414782757000>.
18. Robert Koch-Institut. Krebs in Deutschland für 2021-2023 [online]. 2025 [Zugriff: 15.01.2026]. URL: <https://doi.org/10.25646/13129>.
19. Gondal TA, Chaudhary N, Bajwa H et al. Anal Cancer: The Past, Present and Future. *Curr Oncol* 2023; 30(3): 3232–3250. <https://doi.org/10.3390/curroncol30030246>.
20. Janczewski LM, Asare EA, Goodman KA. Updates on the Version 9 American Joint Committee on Cancer Staging System for Anal Cancer. *Ann Surg Oncol* 2024; 31(7): 4155-4158. <https://doi.org/10.1245/s10434-024-15412-8>.
21. Incyte Biosciences Germany. Clinical Study Protocol (Version 3): A Phase 3 Global, Multicenter, Double-Blind Randomized Study of Carboplatin-Paclitaxel With INCMGA00012 or Placebo in Participants With Inoperable Locally Recurrent or Metastatic Squamous Cell Carcinoma of the Anal Canal Not Previously Treated With Systemic Chemotherapy (POD1UM-303/InterAACT 2). 2022.
22. Incyte Biosciences Germany. Clinical Study Report: A Phase 3 Global, Multicenter, Double-Blind Randomized Study of Carboplatin-Paclitaxel With INCMGA00012 or Placebo in Participants With Inoperable Locally recurrent or Metastatic Squamous Cell Carcinoma of the Anal Canal Not Previously Treated With Systemic Chemotherapy (POD1UM-303/InterAACT 2). 2024.

23. Accord Healthcare. Fachinformation: Paclitaxel Accord 6 mg/ml Konzentrat zur Herstellung einer Infusionslösung. Stand: September 2021. 2021.
24. Statistisches Bundesamt. Körpermaße nach Altersgruppen und Geschlecht 2021 [online]. 2023 [Zugriff: 02.09.2024]. URL: <https://www.destatis.de/DE/Themen/Gesellschaft-Umwelt/Gesundheit/Gesundheitszustand-Relevantes-Verhalten/Tabellen/liste-koerpermasse.html>.
25. Teva. Fachinformation: Carboplatin-GRY 10 mg/ml; Stand: März 2024. 2024.
26. GKV-Spitzenverband, Deutscher Apothekerverband. Anlage 3 zum Vertrag über die Preisbildung für Stoffe und Zubereitungen aus Stoffen [online]. 2025 [Zugriff: 02.09.2025]. URL: https://www.gkv-spitzenverband.de/media/dokumente/krankenversicherung_1/arzneimittel/rahmenvertraege/hilfstaxe/2025-06-01_Rechtlich_unverbindliche_Lesefassung_Anlage_3_zur_Hilfstaxe_idF_37.EV.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
Potenberg, Jochem	ja	nein	nein	nein	nein	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?