

Belumosudil (chronische Graft-versus-Host-Krankheit)

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

A decorative horizontal bar consisting 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 the first 15 squares of this bar.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: G26-10

Version: 1.0

Stand: 30.07.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2292

DOI: 10.60584/G26-10

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Belumosudil (chronische Graft-versus-Host-Krankheit) – Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

04.05.2026

Interne Projektnummer

G26-10

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/G26-10>

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. Belumosudil (chronische Graft-versus-Host-Krankheit); Bewertung gemäß § 35a Abs. 1 Satz 11 SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/G26-10>.

Schlagwörter

Belumosudil, Graft-versus-host-Krankheit, Adoleszent, Erwachsene, Medizinische Versorgungskosten, Epidemiologie

Keywords

Belumosudil, Graft vs Host Disease, Adolescent, Adult, 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

- Anna-Lena Firle
- Judith Kratel
- Sarah Mostardt
- Felix Schwarz

Inhaltsverzeichnis

	Seite
Tabellenverzeichnis	v
Abkürzungsverzeichnis.....	vi
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.....	4
2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten	6
2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	7
2.2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 A, Abschnitt 3.3)....	7
2.2.1 Behandlungsdauer.....	7
2.2.2 Verbrauch	7
2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels	7
2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	8
2.2.5 Jahrestherapiekosten	8
2.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung.....	9
2.2.7 Versorgungsanteile.....	10
3 Kommentar zur Anzahl der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an deutschen Prüfstellen (Modul 3 A, Abschnitt 3.6).....	11
4 Literatur	12
Anhang A Offenlegung von Beziehungen der externen Sachverständigen	13

Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	2
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	7
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	9

Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
cGvHD	chronische Graft-versus-Host-Krankheit
CTD	Common Technical Document
ECP	Extrakorporale Photopherese
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
GvHD	Graft-versus-Host-Disease (Graft-versus-Host-Krankheit)
GWQ	Gesellschaft für Wirtschaftlichkeit und Qualität bei Krankenkassen
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KI	Konfidenzintervall
pU	pharmazeutischer Unternehmer
SGB	Sozialgesetzbuch
STROSA	Standardisierte Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen

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 04.05.2026 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)

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.

2.1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die chronische Graft-versus-Host-Krankheit (cGvHD) stellt der pU nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß der Fachinformation von Belumosudil [1]. Demnach wird Belumosudil angewendet zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit cGvHD, wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden [1].

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 GKV-Zielpopulation über mehrere Schritte, die in Tabelle 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.

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

Schritt	Vorgehen des pU	Anteil [%]	Ergebnis (Patientenzahl)
1	Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre mit cGvHD im Jahr 2022	–	1019–1603
2	Patientinnen und Patienten mit cGvHD und ECP	–	324–689
3	Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	–	279–597
cGvHD: chronische Graft-versus-Host-Krankheit; ECP: Extrakorporale Photopherese; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

Datengrundlage: GKV-Routinedatenanalyse

Datengrundlage für die in der Folge beschriebene Ermittlung der Patientenzahlen bildet eine Analyse von GKV-Routinedaten der Forschungsdatenbank der Gesellschaft für Wirtschaftlichkeit und Qualität bei Krankenkassen (GWQ) ServicePlus AG. Die Forschungsdatenbank enthält laut pU Abrechnungsdaten von etwa 6,3 Millionen Versicherten und ist in Bezug auf Alter und Geschlecht repräsentativ für die deutsche Bevölkerung.

Schritt 1: Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre mit cGvHD im Jahr 2022

Für die Analyse wurde nach Angaben [2] des pU die Gesamtpopulation an Versicherten in der Datenbank herangezogen, die im Betrachtungsjahr 2022 ein Alter von mindestens 12 Jahren aufwies und vollversichert war. Der pU weist hierzu eine Anzahl von 4 527 477,61 Personenjahren aus, wohingegen er keine Angaben zur absoluten Personenanzahl liefert.

Aus der Ausgangsbasis greift der pU alle Versicherten auf, die im Jahr 2022 mit den folgenden Codes gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation (ICD-10-GM) kodiert wurden:

- T86.05 (Chronische Graft-versus-Host-Krankheit, mild)
- T86.06 (Chronische Graft-versus-Host-Krankheit, moderat) oder
- T86.07 (Chronische Graft-versus-Host-Krankheit, schwer)

Dabei berücksichtigt der pU außerdem die folgenden Aufgreifkriterien:

- mindestens 1 Hauptdiagnose oder Nebendiagnose im stationären Bereich
- oder
- mindestens 1 gesicherte Diagnose im ambulanten Bereich, die innerhalb von 3 Folgequartalen durch mindestens eine 2. gesicherte ambulante oder stationäre Diagnose bestätigt wurde.

Über diese Aufgreifkriterien wurde eine Anzahl von 82 Patientinnen und Patienten mit cGvHD in der GWQ-Datenbank im Jahr 2022 ermittelt.

Für die Hochrechnung auf die deutsche Gesamtbevölkerung wurden laut pU auf Basis dieses Ergebnisses alters- und geschlechtsspezifische Raten einschließlich ihrer Konfidenzintervalle (KI) berechnet. Da Geburtsjahre in der Datenbank in Fünfjahresintervallen vorlägen, werde das Alter zum Zeitpunkt des Kohorteneintritts unter der Annahme einer gleichmäßigen Verteilung der Geburtsjahre innerhalb des jeweiligen Intervalls geschätzt. Die ermittelten unteren und oberen Konfidenzintervallgrenzen wurden laut pU mittels direkter Standardisierung auf jeweilige Referenzpopulationen übertragen. Die Referenzpopulationen basieren dabei laut pU auf den amtlichen Bevölkerungsstatistiken des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 31.12.2024. Der pU gibt an, dass die Berechnungen mit dem Statistikprogramm R unter der Verwendung der Funktion `ageadjust.direct()` aus dem R-Paket `epitools` durchgeführt worden sei.

Als Ergebnis gibt der pU eine Anzahl von 1019 bis 1603 Patientinnen und Patienten in mit cGvHD in Deutschland an.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit cGvHD und ECP

Der pU nimmt an, dass das Anwendungsgebiet der extrakorporalen Photopherese (ECP) bei cGvHD als eine geeignete Näherung für das Anwendungsgebiet von Belumosudil betrachtet werden könne. Daher zieht er zur Operationalisierung des Anteils der Patientinnen und Patienten, für die andere Therapieoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder bereits ausgeschöpft wurden, den Anteil der Patientinnen und Patienten mit cGvHD heran, die eine ECP erhalten haben. Von 82 Patientinnen und Patienten mit cGvHD erhielten laut pU 31 Patientinnen und Patienten (ca. 38 %) in der GWQ-Datenbank eine ECP.

Entsprechend dem Vorgehen in Schritt 1 nimmt der pU auf Basis dieses Ergebnisses eine Hochrechnung auf die deutsche Gesamtbevölkerung vor. Auf diese Weise ermittelt er eine Anzahl von 324 bis 689 Patientinnen und Patienten mit cGvHD, die eine ECP erhalten haben.

Schritt 3: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Für die Hochrechnung auf die GKV-Zielpopulation geht der pU grundsätzlich analog zu seinem Vorgehen in den vorangegangenen Schritten vor. Dabei gibt er an, dass die in diesem Schritt verwendeten Referenzpopulationen auf alters- und geschlechtsspezifischen Angaben aus Versichertenstatistiken des Risikostrukturausgleichs mit dem Stand 13.01.2025 basieren, die vom Bundesamt für Soziale Sicherung veröffentlicht worden seien.

Als Ergebnis gibt der pU eine Anzahl von 279 bis 597 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation an.

2.1.2.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Das Vorgehen des pU ist rechnerisch und methodisch nicht vollständig nachvollziehbar, da u. a. relevante Angaben fehlen.

Für eine transparente Darstellung von Routinedatenanalysen wird eine Orientierung an Berichtsstandards wie z. B. der standardisierten Berichtsroutine für Sekundärdatenanalysen (STROSA) [3] empfohlen.

Insgesamt ist die vom pU angegebene Spanne daher als unsicher zu bewerten. Weitere Gründe für diese Bewertung sind im Folgenden aufgeführt.

Zu Schritt 1: Patientinnen und Patienten ≥ 12 Jahre mit cGvHD im Jahr 2022

Der pU operationalisiert die cGvHD über die o. g. ICD-10-Codes (T86.05, T86.06 und T86.07). Dies ist grundsätzlich nachvollziehbar. Jedoch ist darauf hinzuweisen, wie vom pU selbst angemerkt, dass sich die klinische Symptomatik der akuten GvHD (aGvHD) und cGvHD teilweise überschneiden und eine Abgrenzung auch aufgrund der Tatsache, dass sich eine cGvHD aus einer aGvHD entwickeln kann (Overlap-Syndrom), mit Unsicherheit bei der Kodierung verbunden ist. Es ist zudem nicht auszuschließen, dass sich auch unter der

Kodierung T86.09 (GvHD, nicht näher bezeichnet) Patientinnen und Patienten mit cGvHD befinden können. Wie der pU korrekt anmerkt, ist folglich von einer potenziellen Unterschätzung der Prävalenz auszugehen, was sich mit den Ergebnissen einer von ihm referenzierten Studie deckt [4].

Darüber hinaus ist darauf hinzuweisen, dass das Mindestkörpergewicht für Kinder (40 kg) gemäß Fachinformation [1] nicht in der Herleitung berücksichtigt wird. Zwar ist nicht auszuschließen, dass auch Kinder unter 40 kg Körpergewicht aufgegriffen wurden, jedoch ist in Anbetracht eines durchschnittlichen Körpergewichts bei 12-Jährigen von 48,7 kg [5] nicht davon auszugehen, dass sich hieraus relevante Abweichungen ergeben.

Zu Schritt 2: Patientinnen und Patienten mit cGvHD und ECP

Im Abschnitt 4.1 der Fachinformation [1] liegt keine nähere Definition der Behandlungsoptionen vor, die einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden. Durch die vom pU vorgenommen Operationalisierung über das Vorliegen einer Behandlung mit einer ECP, lässt sich nicht auf Patientinnen und Patienten im Anwendungsgebiet schließen. Zudem fehlt eine Darstellung der entsprechenden Aufgreifkriterien.

Der S2k-Leitlinie zur ECP und den Empfehlungen der Deutschen Gesellschaft für Hämatologie und medizinische Onkologie (DGHO) zur cGvHD [6,7] lässt sich entnehmen, dass die ECP bereits im Einzelfall zur Prophylaxe einer Graft-versus-Host-Krankheit (GvHD) und, wie der pU selbst anmerkt, bereits in der Erst- und Zweitlinie der Behandlung einer cGvHD zum Einsatz kommen kann. Durch das Vorgehen des pU ergeben sich gegenläufige Effekte, so können zum einen Patientinnen und Patienten mit ECP eingeschlossen worden sein, die vom Anwendungsgebiet nicht umfasst sind, da weitere Therapieoptionen für sie infrage kommen. Zum anderen können auf diese Weise Patientinnen und Patienten, die keine ECP erhalten haben, aber für die andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden, nicht berücksichtigt worden sein. Darüber hinaus ist anzumerken, dass die ECP eine nicht zugelassene Therapieoption (laut S2k-Leitlinie [6] ist der Einsatz von ECP bei cGvHD im Off-Label-Use) im vorliegenden Anwendungsgebiet [6] darstellt.

Zu den Schritten 1 bis 3: Hochrechnung auf die GKV-Zielpopulation

Es liegen nur unzureichende Angaben vor, sodass das Vorgehen des pU bei der Hochrechnung auf die deutsche Gesamtbevölkerung und die GKV-Zielpopulation nicht nachvollziehbar ist. Der pU gibt an, alters- und geschlechtsspezifische Raten und zugehörige KI auf entsprechend stratifizierte Standardpopulationen zu übertragen, die er den amtlichen Bevölkerungsstatistiken des Statistischen Bundesamtes zum Stichtag 31.12.2024 sowie einer Veröffentlichung des Bundesamtes für Soziale Sicherung zu Versichertenstatistiken des

Risikostrukturausgleichs entnommen habe. Hierzu legt er keine konkreten Rechnungen vor und liefert zudem keine Quellen, sodass eine Überprüfung nicht möglich ist. In diesem Kontext ist darauf hinzuweisen, dass der pU mit Personen- bzw. Versichertenjahren rechnet. Insbesondere sein Vorgehen zur Bestimmung absoluter Personenanzahlen stellt der pU nicht dar.

Einordnung im Vergleich zu bisherigen Verfahren

Im Jahr 2025 wurde das IQWiG mit der Erstellung eines Konzepts für die anwendungsbegleitende Datenerhebung zu Belumosudil und einem nachfolgenden Addendum beauftragt [8,9]. Das damals betrachtete Anwendungsgebiet umfasste – abweichend zum vorliegenden Verfahren – die Behandlung von Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit einer cGvHD nach Versagen von mindestens 2 vorherigen systemischen Therapielinien. Die geschätzte Zielpopulation belief sich auf eine Anzahl von 637 bis 753 Patientinnen und Patienten [8]. Im Rahmen des zugehörigen Addendums wurde die geschätzte Patientenzahl auf 409 bis 438 korrigiert [9]. Diese Angabe wurde seitens des G-BA weiterhin als überschätzt bewertet, da ein Anteil verwendet wurde, der sich auf die 2. und nicht die 3. Therapielinie bezieht [10].

Durch die Änderung des vorliegenden Anwendungsgebiets im Vergleich zum damaligen Anwendungsgebiet ergeben sich unterschiedliche Zielpopulationen. Dies führt mit Blick auf die Gesamtzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation zu gegenläufigen Effekten. Zum einen sind vom vorliegenden Anwendungsgebiet nun auch Patientinnen und Patienten vor der 3. Therapielinie umfasst, wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden. Zum anderen sind Patientinnen und Patienten, die mindestens 2 vorherige Therapielinien durchlaufen haben, für die jedoch noch andere Behandlungsoptionen einen Nutzen bieten, geeignet sind oder nicht ausgeschöpft wurden, nicht länger vom Anwendungsgebiet umfasst. Eine Vergleichbarkeit der Patientenzahlen aus dem Addendum und dem vorliegenden Verfahren ist daher nicht gegeben.

2.1.2.3 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Der pU gibt an, dass es aufgrund der limitierten Datenlage und gegenläufiger Einflüsse wie der Zunahme allogener Stammzelltransplantationen bei gleichzeitiger Verbesserung der Prophylaxe von GvHD nicht möglich sei eine valide Schätzung der Prävalenzentwicklung abzugeben. Er geht daher von einer konstanten Prävalenz aus. Ausgehend von den von ihm berechneten Patientenzahlen für die GKV-Zielpopulation im Jahr 2022 und unter Berücksichtigung einer durchschnittlichen jährlichen Wachstumsrate des GKV-Anteils von ca. 0,37% prognostiziert der pU für das Jahr 2031 eine Anzahl von 286 bis 611 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

2.1.2.4 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

Bezeichnung der Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Belumosudil	Erwachsene und Kinder (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit cGvHD, wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden	279–597	Die vom pU angegebene Spanne ist als unsicher zu bewerten. Die für diese Bewertung maßgeblichen Gründe sind unter anderem: ▪ fehlende Nachvollziehbarkeit des Vorgehens bei der Hochrechnung auf die GKV-Zielpopulation, da grundlegende Angaben für die Hochrechnung auf die GKV-Zielpopulation fehlen ▪ Unsicherheiten bei der Operationalisierung jener Patientinnen und Patienten für die andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden anhand jener, die eine ECP erhalten haben
a. Angabe des pU cGvHD: chronische Graft-versus-Host-Krankheit; ECP: Extrakorporale Photopherese; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer			

2.2 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.

2.2.1 Behandlungsdauer

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.

2.2.2 Verbrauch

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

2.2.3 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels

Die Angaben des pU zu den Kosten von Belumosudil geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.05.2026, der erstmaligen Listung, wieder.

2.2.4 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU gibt an, dass der Fachinformation keine zusätzlich notwendigen GKV-Leistungen zu entnehmen sind. Die Fachinformation sieht jedoch mindestens monatlich eine labordiagnostische Kontrolle der Leberwerte vor [1].

2.2.5 Jahrestherapiekosten

Der pU ermittelt für Belumosudil Jahrestherapiekosten pro Patientin bzw. Patient in Höhe von 165 997,62 €. Diese bestehen ausschließlich aus Arzneimittelkosten. Die angegebenen Arzneimittelkosten sind plausibel. Es fallen zudem Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt.

2.2.6 Kosten der Therapie für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: 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
Belumosudil	Erwachsene und Kinder (im Alter von 12 Jahren und älter mit einem Körpergewicht von mindestens 40 kg) mit cGvHD, wenn andere Behandlungsoptionen einen begrenzten klinischen Nutzen bieten, nicht geeignet sind oder ausgeschöpft wurden	165 997,62	0	0	165 997,62	Die Arzneimittelkosten sind plausibel. Es fallen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt.
a. Angabe des pU cGvHD: chronische Graft-versus-Host-Krankheit; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer						

2.2.7 Versorgungsanteile

Der pU gibt an, dass eine quantitative Einschätzung der zu erwartenden Versorgungsanteile aufgrund limitierter Daten und variierender Therapiesequenzen aktuell nicht möglich sei. Er erläutert Kontraindikationen sowie Therapieabbrüche. Der pU geht zudem davon aus, dass eine Therapie mit Belumosudil überwiegend im ambulanten Bereich erfolgt.

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 liefert Angaben für 5 Studien (KD025-208, KD025-213, BN101-201, ME3208-2 und CT18369) und gibt den Anteil der Prüfungsteilnehmerinnen und Prüfungsteilnehmer an Prüfstellen im Geltungsbereich des SGB V mit 0,0 % an. Diese Angabe ist für die vom pU herangezogene Analysepopulation nachvollziehbar. Im Abgleich mit dem Common Technical Document (CTD) wurden weitere relevante Studien mit Registereintrag identifiziert, welche der Zulassungsbehörde für die Beurteilung der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels in dem zu bewertenden Anwendungsgebiet übermittelt wurden. Allerdings führt deren Hinzunahme zu keiner Änderung des oben genannten Anteils, da sich den Studienregistereinträgen entnehmen lässt, dass diese ausschließlich in anderen Ländern durchgeführt wurden.

4 Literatur

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

1. Sanofi. Fachinformation REZUROCK 200 mg Filmtabletten.
2. Sanofi-Aventis Deutschland. Epidemiologie, Berechnung der Zielpopulation. [unveröffentlicht].
3. Swart E, Bitzer EM, Gothe H et al. STandardisierte BerichtsROutine für Sekundärdaten Analysen (STROSA) – ein konsentierter Berichtsstandard für Deutschland, Version 2. Gesundheitswesen 2016; 78(Suppl 1): e145-e160. <https://doi.org/10.1055/s-0042-108647>.
4. Scheid C, Kudernatsch R, Eckart M et al. Treatment Pathways and Health Outcomes of German Patients with Chronic Graft-Versus-Host Disease After Allogeneic Hematopoietic Cell Transplantation: A Retrospective Health Claims Data Analysis. Drugs - real world outcomes 2022; 9(4): 577-588. <https://doi.org/10.1007/s40801-022-00320-8>.
5. Statistisches Bundesamt. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (Größe in m, Gewicht in kg); Gliederungsmerkmale: Jahre, Deutschland, Alter Geschlecht [online]. 2026 [Zugriff: 29.06.2026]. URL: https://www.gbe-bund.de/gbe/isgbe.startseite?p_uid=gast&p_aid=6255475&p_sprache=D.
6. Deutsche Dermatologische Gesellschaft, Deutsche Krebsgesellschaft. S2k-Leitlinie Extrakorporale Photopherese (ECP) [online]. 2022 [Zugriff: 20.02.2026]. URL: https://register.awmf.org/assets/guidelines/013-072l_S2k_Extrakorporale-Photopherese-ECP_2022-02.pdf.
7. Wolff, Zeiser, Scheid et al. Onkopedia Leitlinien Graft-versus-Host Erkrankung, chronisch [online]. 2023. URL: <https://www.onkopedia.com/de/onkopedia/guidelines/graft-versus-host-erkrankung-chronisch/@@guideline/html/index.html>.
8. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Belumosudil (chronische Graft-versus-Host-Krankheit); Bewertung gemäß §35a SGB V [online]. 2025 [Zugriff: 30.06.2026]. URL: <https://doi.org/10.60584/A25-34>.
9. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Belumosudil (chronische Graft-versus-Host-Krankheit); 1. Addendum zum Projekt A25-34 (AbD-Konzept) [online]. 2025 [Zugriff: 11.11.2025]. URL: <https://doi.org/10.60584/A25-110>.
10. Gemeinsamer Bundesausschuss. Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einstellung eines Beratungsverfahrens nach § 35a Absatz 3b des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V): Belumosudil (chronische Graft-versus-Host-Krankheit); Forderung einer anwendungsbegleitenden Datenerhebung und von Auswertungen [online]. 2025 [Zugriff: 29.06.2026]. URL: <https://www.g-ba.de/anwendungsbegleitende-datenerhebung-verfahren/21/>.

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?