Arzneimittelbewertung auf einen Blick: A25-156[1]

Iptacopan (paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie)

20.07.2026

[1] Diese Zusammenfassung wird Ihnen als Service des IQWiG bereitgestellt. Für weitergehende Informationen zum Gegenstand und Ergebnis der Bewertung wird auf die Dossierbewertung zum Projekt A25-156 verwiesen. Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.

Fragestellung 1 der Nutzenbewertung

Population	Erwachsene mit paroxysmaler nächtlicher Hämoglobinurie (PNH), die eine hämolytische Anämie aufweisen und nicht vorbehandelt sind
Intervention	Iptacopan
Vergleichstherapie	▪ Eculizumab oder ▪ Ravulizumab
Endpunkte	mindestens 1 patientenrelevanter Endpunkt

Übersicht der positiven und negativen Effekte – Fragestellung 1

	Größe der Effekte	Aussagekraft der Effekte
Mortalität	∅	–
Morbidität	∅	–
Symptome	∅	–
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	–
Nebenwirkungen	∅	–
	∅ keine (geeigneten) Daten ↔ kein Vorteil oder Nachteil ↑ bzw. ↓ geringer Vorteil bzw. Nachteil ↑↑ bzw. ↓↓ mittelgroßer Vorteil bzw. Nachteil ↑↑↑ bzw. ↓↓↓ großer Vorteil bzw. Nachteil	– nicht zutreffend ★ gering ★★ mittel ★★★ hoch

Insgesamt: kein Vorteil oder Nachteil (keine geeigneten Daten)

Evidenzbasis und inhaltliche Besonderheiten – Fragestellung 1

- Es liegen keine Daten vor.

Fragestellung 2 der Nutzenbewertung

Population	Erwachsene mit PNH, die nach wie vor eine hämolytische Anämie aufweisen und vorbehandelt sind
Intervention	Iptacopan
Vergleichstherapie	▪ Pegcetacoplan oder ▪ Eculizumab + Danicopan oder ▪ Ravulizumab + Danicopan
Endpunkte	mindestens 1 patientenrelevanter Endpunkt

Übersicht der positiven und negativen Effekte – Fragestellung 2

	Größe der Effekte	Aussagekraft der Effekte
Mortalität	∅	–
Morbidität	∅	–
Symptome	∅	–
Gesundheitsbezogene Lebensqualität	∅	–
Nebenwirkungen	∅	–
	∅ keine (geeigneten) Daten ↔ kein Vorteil oder Nachteil ↑ bzw. ↓ geringer Vorteil bzw. Nachteil ↑↑ bzw. ↓↓ mittelgroßer Vorteil bzw. Nachteil ↑↑↑ bzw. ↓↓↓ großer Vorteil bzw. Nachteil	– nicht zutreffend ★ gering ★★ mittel ★★★ hoch

Insgesamt: kein Vorteil oder Nachteil (keine geeigneten Daten)

Evidenzbasis und inhaltliche Besonderheiten – Fragestellung 2

- Die Studie APPLY-PNH (offene RCT zum Vergleich von Iptacopan mit der Fortsetzung der bestehenden Behandlung mit Eculizumab oder Ravulizumab) ist nicht geeignet, da diese keinen Vergleich von Iptacopan mit der Vergleichstherapie ermöglicht.

Referenzen

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Iptacopan (paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: 04.06.2026]. URL: https://doi.org/10.60584/A25-156.

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Iptacopan (paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie); Addendum zum Projekt A25-156 (Dossierbewertung) [online]. 2026 [Zugriff: 04.06.2026]. URL: https://doi.org/10.60584/A26-43.

Gemeinsamer Bundesausschuss. Nutzenbewertungsverfahren zum Wirkstoff Iptacopan (Neubewertung Orphan > 30 Mio: Paroxysmale Nächtliche Hämoglobinurie) [online]. 2026 [Zugriff: 04.06.2026]. URL: https://www.g-ba.de/bewertungsverfahren/nutzenbewertung/1292/.

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG)

Anschrift

Siegburger Str. 237
50679 Köln

Tel.: +49 221 35685-0
Fax: +49 221 35685-1
E-Mail: info@iqwig.de
Internet: www.iqwig.de