

## **I 1 Kurzfassung der Nutzenbewertung**

### **Hintergrund**

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Nipocalimab gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 23.12.2025 übermittelt.

### **Fragestellung**

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Nipocalimab als Zusatzbehandlung zur Standardtherapie im Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei erwachsenen und jugendlichen Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit generalisierter Myasthenia gravis, die Antikörper gegen Acetylcholinrezeptor (AChR) oder muskelspezifische Tyrosinkinase (MuSK) aufweisen.

Aus der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA ergeben sich die in Tabelle 2 dargestellten Fragestellungen.

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Nipocalimab

| Fragestellung | Indikation  | Zweckmäßige Vergleichstherapie <sup>a, b, c</sup>   |
|---------------|---|---|
| 1             | Erwachsene mit anti-AChR-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt  | Eculizumab (für refraktäre Patientinnen und Patienten) oder Efgartigimod alfa oder Ravulizumab oder Rozanolixizumab oder Zilucoplan |
| 2             | Erwachsene mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt  | Rozanolixizumab   |
| 3             | Jugendliche (12 bis 17 Jahre) mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt   | Eculizumab  |
| 4             | Jugendliche (12 bis 17 Jahre) mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter Myasthenia gravis oder mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt | BSC <sup>d</sup>  |

a. Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.  
 b. Gemäß G-BA wird vorausgesetzt, dass die Patientinnen und Patienten, sofern angezeigt, in beiden Studienarmen eine leitliniengerechte Therapie mit Cholinesterase-Inhibitoren sowie eine immunsuppressive Basistherapie erhalten. Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Nicht medikamentöse Maßnahmen im Sinne der Heilmittel-Richtlinie bzw. des Heilmittelkatalogs sollten, sofern indiziert, in beiden Studienarmen angeboten werden. Die Art und der Umfang der zum Einsatz kommenden Maßnahmen sind zu dokumentieren. Neben den medikamentösen Behandlungsoptionen hat auch die Thymektomie einen hohen Stellenwert in der Therapie der anti-AChR-Antikörper-positiven generalisierten Myasthenia gravis. Es wird jedoch davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten zum Zeitpunkt der Therapie eine Thymektomie nicht infrage kommt oder sie diese bereits erhalten haben.  
 c. Für alle Patientinnen und Patienten ist sicherzustellen, dass eine myasthene Krise und / oder krisenhafte Verschlechterungen optimal behandelt wird.  
 d. Als Best supportive Care wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet. Im vorliegenden Anwendungsgebiet können unter anderem nicht medikamentöse Maßnahmen gemäß Heilmittelkatalog zur Linderung der Symptome beitragen.

AChR: Acetylcholinrezeptor; BSC: Best supportive Care; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss;  
 MuSK: muskelspezifische Tyrosinkinase

Der pU folgt der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie durch den G-BA.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die Ableitung des Zusatznutzens werden Studien mit einer Mindestdauer von 24 Wochen herangezogen.

**Fragestellungen 1 und 2: Erwachsene mit anti-AChR-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis und Erwachsene mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die jeweils eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt**

***Ergebnisse***

In Übereinstimmung mit dem pU ergab die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools keine randomisierte kontrollierte Studie (RCT) für die Fragestellungen 1 und 2 der vorliegenden Dossierbewertung zum Vergleich von Nipocalimab mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie. Somit liegen für Fragestellungen 1 und 2 keine Daten vor.

***Ergebnisse zum Zusatznutzen***

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Nipocalimab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie liegen für die Fragestellungen 1 und 2 der vorliegenden Dossierbewertung keine Daten vor. Es ergibt sich jeweils kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Nipocalimab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit für diese Fragestellungen nicht belegt.

**Fragestellung 3: Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt**

***Ergebnisse***

In Übereinstimmung mit dem pU ergab die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools keine RCT zum Vergleich von Nipocalimab gegenüber Eculizumab für Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt. Der pU sucht zusätzlich auch nach nicht randomisierten und nicht vergleichenden Studien zu Nipocalimab ohne Einschränkung auf eine Vergleichstherapie. Für die Vergleichstherapie Eculizumab führt der pU für Fragestellung 3 keine entsprechende Informationsbeschaffung durch.

Der pU zieht die 1-armige Studie VIBRANCE-MG zu Nipocalimab ergänzend für die Ableitung eines Zusatznutzens für Fragestellung 4 heran. Dabei ist unklar, ob in diese Studie auch Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis entsprechend Fragestellung 3 der vorliegenden Nutzenbewertung eingeschlossen wurden. Das Vorgehen bleibt ohne Konsequenz, da die Studie VIBRANCE-MG keinen Vergleich gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie Eculizumab für Fragestellung 3 erlaubt und daher für die Nutzenbewertung nicht relevant ist.

Insgesamt liegen für Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt, keine geeigneten Daten vor.

### ***Ergebnisse zum Zusatznutzen***

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Nipocalimab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie liegen für Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt, keine geeigneten Daten vor. Es ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Nipocalimab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit für diese Fragestellung nicht belegt.

### **Fragestellung 4: Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter oder anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt**

#### ***Ergebnisse***

In Übereinstimmung mit dem pU ergab die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools keine RCT zum Vergleich von Nipocalimab gegenüber Best supportive Care (BSC) für Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter Myasthenia gravis oder mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt. Der pU sucht auch nach nicht randomisierten und nicht vergleichenden Studien zu Nipocalimab ohne Einschränkung auf eine Vergleichstherapie. Er identifiziert die 1-armige Studie VIBRANCE-MG zu Nipocalimab bei Kindern und Jugendlichen mit generalisierter Myasthenia gravis. Eine Informationsbeschaffung für die zweckmäßige Vergleichstherapie führt der pU nicht durch.

Zur Ableitung des Zusatznutzens für Fragestellung 4 der vorliegenden Nutzenbewertung überträgt der pU die Ergebnisse einer Teilpopulation der RCT VIVACITY-MG3 zum Vergleich von Nipocalimab gegenüber Placebo bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis auf die Population der Jugendlichen ab 12 Jahren gemäß Fragestellung 4. Die Ergebnisse der Teilpopulation der Jugendlichen ab 12 Jahren der 1-armigen Studie VIBRANCE-MG stellt der pU ergänzend im Rahmen der Übertragung von Evidenz für Fragestellung 4 dar.

#### *Vom pU vorgelegte Daten*

##### *RCT VIVACITY-MG3 bei Erwachsenen*

Die Studie VIVACITY-MG3 ist eine laufende, doppelblinde RCT zum Vergleich einer Behandlung von Nipocalimab mit Placebo über 24 Wochen, jeweils zusätzlich zu einer aktuell bestehenden stabilen Therapie. In die Studie wurden erwachsene Patientinnen und Patienten mit generalisierter Myasthenia gravis eingeschlossen, die eine Myasthenia-Gravis-Foundation-of-America(MGFA)-Klassifizierung II bis IV zum Screening und zudem einen Myasthenia-Gravis-Activities-of-Daily-Living(MG-ADL)-Score  $\geq 6$  zum Screening und zu Baseline aufwiesen. Darüber hinaus sollten die Patientinnen und Patienten ein suboptimales Ansprechen auf die

aktuelle stabile Therapie haben oder die Begleitmedikation aufgrund von Unverträglichkeit oder fehlender Wirksamkeit  $\geq 4$  Wochen vor Screening abgesetzt haben. In die Studie wurden insgesamt 199 Patientinnen und Patienten eingeschlossen und im Verhältnis 1:1 zufällig einer Behandlung mit Nipocalimab (N = 100) oder Placebo (N = 99) zugeteilt. Nipocalimab und Placebo wurden jeweils als intravenöse Infusion verabreicht. Die Behandlung mit Nipocalimab erfolgte gemäß Fachinformation.

Falls die Patientinnen und Patienten vor Studienbeginn eine Behandlung mit Acetylcholinesterase-Inhibitoren und / oder Immunsuppressiva und / oder Glukokortikoiden erhielten, mussten sie diese als Begleitmedikation in der Studie mit stabilem Regime und stabiler Dosis fortführen. Dabei mussten wirkstoffspezifische Vorgaben für die Dauer der Vorbehandlung und die Dauer der stabilen Dosierung der Vortherapie vor Studienbeginn eingehalten werden.

#### 1-armige Studie VIBRANCE-MG bei Kindern und Jugendlichen

Die Studie VIBRANCE-MG ist eine laufende, 1-armige Studie zu Nipocalimab zusätzlich zu einer aktuell bestehenden stabilen Therapie. Eingeschlossen werden Kinder und Jugendliche im Alter von 2 bis  $< 18$  Jahren mit generalisierter Myasthenia gravis, die eine MGFA-Klassifizierung von II bis IV aufweisen. Darüber hinaus sollen die Patientinnen und Patienten ein suboptimales Ansprechen auf die aktuelle stabile Therapie haben oder die Begleitmedikation aufgrund von Unverträglichkeit oder fehlender Wirksamkeit  $\geq 4$  Wochen vor Screening abgesetzt haben. Der Studieneinschluss ist auf Patientinnen und Patienten mit anti-AChR- oder anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis beschränkt. Die Aufnahme der Patientinnen und Patienten erfolgt in 2 Alterskohorten, wobei für die vorliegende Fragestellung ausschließlich Kohorte 1 von Interesse ist, da nur in diese Kohorte Jugendliche im Alter von 12 bis  $< 18$  Jahren eingeschlossen wurden. In die Kohorte wurden bisher insgesamt 9 Jugendliche eingeschlossen. Nipocalimab wurde als intravenöse Infusion gemäß Fachinformation verabreicht.

Die Vorgaben zur Begleitmedikation entsprechen größtenteils denen der Studie VIVACITY-MG3.

#### Vorgehen des pU zur Übertragung von Evidenz der Studie VIVACITY-MG3 bei Erwachsenen auf die Population der Jugendlichen gemäß Fragestellung 4

Ziel des pU ist die Übertragung eines Zusatznutzens von Nipocalimab bei Erwachsenen auf Basis einer Teilpopulation der Studie VIVACITY-MG3 (51 vs. 40 Patientinnen und Patienten) auf die Patientengruppe der Jugendlichen entsprechend Fragestellung 4 (Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter oder anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis). Für den Ausschluss der Patientinnen und Patienten mit refraktärer Erkrankung definiert der pU Refraktärität als eine anhaltende

Beeinträchtigung der Aktivitäten des täglichen Lebens trotz Immunsuppressiva (Kortikosteroide und nicht steroidale Immunsuppressiva), operationalisiert als Behandlung mit  $\geq 2$  immunsuppressiven Therapien als i) Monotherapien oder als ii) Kombinationstherapie oder iii) Behandlung mit  $\geq 1$  immunsuppressive Therapie und mindestens 2 Behandlungen mit Plasmapherese / Plasmaaustausch oder intravenösen Immunglobulinen. Der pU geht davon aus, dass mit der Placebo-kontrollierten Studie VIVACITY-MG3 bei Erwachsenen geeignete vergleichende Evidenz gegenüber der für Jugendliche gemäß Fragestellung 4 definierten zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC vorliege. Darüber hinaus legt der pU ergänzend Ergebnisse jugendlicher Patientinnen und Patienten der 1-armigen Studie VIBRANCE-MG (N = 8) für einen gemäß pU Abgleich der Effektrichtungen zwischen Erwachsenen und Jugendlichen vor.

Der pU leitet zunächst für Erwachsene einen Hinweis auf einen geringen Zusatznutzen ab und auf Basis der Übertragung von Evidenz für Jugendliche gemäß Fragestellung 4 einen Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen für Nipocalimab im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC ab.

*Studie VIVACITY-MG3 bei Erwachsenen nicht zur Übertragung eines Zusatznutzens geeignet, da die Vergleichstherapie nicht der für Jugendliche festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC entspricht*

Es liegen keine geeigneten Daten bei Erwachsenen gegenüber der vom G-BA für Jugendliche gemäß Fragestellung 4 festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC vor, da die Therapie im Vergleichsarm (Placebo + Begleittherapie) in der vom pU vorgelegten Teilpopulation der Studie VIVACITY-MG3 nicht der für Jugendliche festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC entspricht. Somit kann auch kein Zusatznutzen von Erwachsenen auf Jugendliche übertragen werden. Dies wird nachfolgend erläutert.

- Bei den Patientinnen und Patienten der vom pU vorgelegten Teilpopulation der Studie VIVACITY-MG3 liegt eine unzureichende Krankheitskontrolle vor. In dieser Situation wird gemäß S2k-Leitlinie, sofern weitere Therapieoptionen bestehen, eine Eskalation der Therapie empfohlen. Mit Ausnahme der Dosierung von Acetylcholinesterase-Inhibitoren bei medizinischer Notwendigkeit waren Anpassungen der Begleitmedikation während der Studie jedoch nicht erlaubt. Ein Hinweis in den Einschlusskriterien der Studie VIVACITY-MG3, dass die Hintergrundtherapie zu Screening und / oder Baseline optimiert sein sollte, wurde erst im Protokoll (mit Amendment 1) aufgenommen, als bereits 42 % der randomisierten Patientinnen und Patienten in die Studie eingeschlossen waren. Darüber hinaus finden sich keine Hinweise in den Studienunterlagen, dass Therapieoptimierungen vor der stabilen Therapiephase vor Studienbeginn (bspw. die Hinzunahme oder der Wechsel von Wirkstoffklassen, Dosisanpassungen) dokumentiert wurden.

- Anhand der Angaben zur stabilen Begleitmedikation im Placeboarm in der vom pU vorgelegten Teilpopulation ist davon auszugehen, dass bei den Patientinnen und Patienten zu Studienbeginn noch Optionen zur Therapieoptimierung bestanden haben. Beispielsweise erhielten 17,5 % der Patientinnen und Patienten ausschließlich eine symptomatische Therapie mit Acetylcholinesterase-Inhibitoren. Lediglich 20 % der Patientinnen und Patienten erhielten die gemäß S2k-Leitlinie gängige Therapie einer Kombination aus Acetylcholinesterase-Inhibitoren, Glukokortikoiden und nicht steroidalen Immunsuppressiva.
- Dass potenziell bereits während der 24-wöchigen randomisierten Behandlungsphase ein Bedarf an Therapieanpassungen bestand, zeigen Daten der offenen Extensionsphase, in der auch alle Patientinnen und Patienten im Vergleichsarm mit Nipocalimab behandelt wurden und in der Anpassungen der Begleitmedikation wieder erlaubt waren. Bei 21,6 % der Patientinnen und Patienten der Gesamtpopulation, die im Placeboarm Nipocalimab in der Extensionsphase erhielten, erfolgte trotz zusätzlicher Gabe von Nipocalimab eine Dosiserhöhung (8,0 %) oder der Beginn einer neuen Begleitmedikation (13,6 %).
- Angaben zu Vortherapien (inklusive Thymektomie) bzw. Informationen, dass die bestehende Therapie vor Studienbeginn optimiert wurde, liegen für die vom pU vorgelegte Teilpopulation nicht vor. Lediglich bei 16 % der Patientinnen und Patienten im Vergleichsarm der Gesamtpopulation der Studie VIVACITY-MG3 erfolgte eine Thymektomie, obwohl bei Patientinnen und Patienten mit anti-AChR-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, die 90 % der Patientinnen und Patienten im Vergleichsarm der vom pU vorgelegten Teilpopulation ausmachen, gemäß S2k-Leitlinie eine Thymektomie Therapiestandard ist.

#### *Weitere Anmerkungen*

- Wenn auch keine einheitliche Definition der Refraktärität besteht, ist die vom pU post hoc verwendete Definition zum Ausschluss von Patientinnen und Patienten mit refraktärer anti-AChR-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis insgesamt mit Unsicherheit behaftet und nicht unmittelbar nachvollziehbar.
- Aufgrund des fehlenden Vergleichs gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ist die vom pU ergänzend herangezogene Kohorte 1 der Studie VIBRANCE-MG, die ausschließlich Jugendliche umfasst, nicht für die Nutzenbewertung geeignet.
- Der pU führt für weitere Untersuchungen keine Informationsbeschaffung zur zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC durch. Der pU legt entsprechend auch keine vergleichenden Daten zwischen Nipocalimab und BSC für Jugendliche vor. Darüber hinaus wird eine Informationsbeschaffung für erwachsene Patientinnen und Patienten zum Vergleich von Nipocalimab gegenüber BSC entsprechend der Fragestellung 4, von der auf Jugendliche übertragen werden soll, nicht dargestellt.

- Unabhängig davon, dass die Therapie im Vergleichsarm in der vom pU vorgelegten Teilpopulation der Studie VIVACITY-MG3 nicht der für Jugendliche festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie BSC entspricht, unterscheiden sich die vom pU herangezogenen Populationen der Studien VIVACITY-MG3 bei Erwachsenen und VIBRANCE-MG bei Jugendlichen hinsichtlich der bestehenden Krankheitsschwere deutlich, was eine Übertragung von Evidenz von einer Population auf eine andere erschwert.

Die vorgelegten Daten sind insgesamt nicht geeignet für eine Übertragung von Evidenz von Erwachsenen auf Jugendliche mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter Myasthenia gravis oder mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt.

### ***Ergebnisse zum Zusatznutzen***

Der pU legt für die Bewertung des Zusatznutzens von Nipocalimab im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Jugendlichen mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter Myasthenia gravis oder mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt, keine geeigneten Daten vor. Es ergibt sich für diese Fragestellung kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Nipocalimab gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit nicht belegt.

### **Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens, Patientengruppen mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen**

Tabelle 3 zeigt eine Zusammenfassung von Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens von Nipocalimab.

Tabelle 3: Nipocalimab – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

| Fragestellung | Indikation  | Zweckmäßige Vergleichstherapie <sup>a, b, c</sup>   | Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens |
|---------------|---|---|---|
| 1             | Erwachsene mit anti-AChR-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt  | Eculizumab (für refraktäre Patientinnen und Patienten) oder Efgartigimod alfa oder Ravulizumab oder Rozanolixizumab oder Zilucoplan | Zusatznutzen nicht belegt                       |
| 2             | Erwachsene mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt  | Rozanolixizumab   | Zusatznutzen nicht belegt                       |
| 3             | Jugendliche (12 bis 17 Jahre) mit anti-AChR-Antikörper-positiver refraktärer generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt   | Eculizumab  | Zusatznutzen nicht belegt                       |
| 4             | Jugendliche (12 bis 17 Jahre) mit anti-AChR-Antikörper-positiver nicht refraktärer generalisierter Myasthenia gravis oder mit anti-MuSK-Antikörper-positiver generalisierter Myasthenia gravis, für die eine Zusatztherapie zu einer Standardtherapie infrage kommt | BSC <sup>d</sup>  | Zusatznutzen nicht belegt                       |

a. Dargestellt ist jeweils die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.

b. Gemäß G-BA wird vorausgesetzt, dass die Patientinnen und Patienten, sofern angezeigt, in beiden Studienarmen eine leitliniengerechte Therapie mit Cholinesterase-Inhibitoren sowie eine immunsuppressive Basistherapie erhalten. Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. Nicht medikamentöse Maßnahmen im Sinne der Heilmittel-Richtlinie bzw. des Heilmittelkatalogs sollten, sofern indiziert, in beiden Studienarmen angeboten werden. Die Art und der Umfang der zum Einsatz kommenden Maßnahmen sind zu dokumentieren. Neben den medikamentösen Behandlungsoptionen hat auch die Thymektomie einen hohen Stellenwert in der Therapie der anti-AChR-Antikörper-positiven generalisierten Myasthenia gravis. Es wird jedoch davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten zum Zeitpunkt der Therapie eine Thymektomie nicht infrage kommt oder sie diese bereits erhalten haben.

c. Für alle Patientinnen und Patienten ist sicherzustellen, dass eine myasthene Krise und / oder krisenhafte Verschlechterungen optimal behandelt wird.

d. Als Best supportive Care wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet. Im vorliegenden Anwendungsgebiet können unter anderem nicht medikamentöse Maßnahmen gemäß Heilmittelkatalog zur Linderung der Symptome beitragen.

AChR: Acetylcholinrezeptor; BSC: Best supportive Care; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; MuSK: muskelspezifische Tyrosinkinase

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.