

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 Asciminib gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 26.05.2026 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Asciminib im Vergleich mit Best supportive Care (BSC) als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten mit Philadelphia-Chromosom-positiver chronischer myeloischer Leukämie in der chronischen Phase (Ph+ CML-CP) mit einer Punktmutation des BCR::ABL-Proteins an Position 315 mit Austausch Threonin gegen Isoleucin (T315I-Mutation), die gegenüber Ponatinib resistent oder intolerant sind oder für die Ponatinib nicht geeignet ist.

Aus der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA ergibt sich die in Tabelle 2 dargestellte Fragestellung.

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Asciminib

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a
erwachsene Patientinnen und Patienten mit Ph+ CML-CP mit T315I-Mutation, die gegenüber Ponatinib resistent oder intolerant sind oder für die Ponatinib nicht geeignet ist	BSC ^b
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Als BSC wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet. BSC: Best supportive Care; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; Ph+ CML-CP: Philadelphia-Chromosom-positiv chronische myeloische Leukämie in der chronischen Phase; T315I: Punktmutation des BCR::ABL-Proteins an Position 315 mit Austausch Threonin gegen Isoleucin	

Der pU weicht von der Festlegung des G-BA zur zweckmäßigen Vergleichstherapie ab. Er sieht keine vergleichbare Therapieoption, die eine zweckmäßige Therapie für die vorliegende Patientenpopulation darstellt. Eine Behandlung mit Best supportive Care (BSC) ist aus Sicht des pU im vorliegenden Anwendungsgebiet nicht als Therapiestandard zu betrachten. Lediglich für einzelne Teilpopulationen sieht er jeweils Möglichkeiten, beispielsweise einer zeitlich begrenzten Ponatinib-Behandlung mit nachfolgender allogener Stammzelltherapie oder der Behandlung mit Asciminib selbst.

Die Abweichung des pU von der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA bleibt ohne Konsequenz, da der pU keine geeigneten Daten für die Nutzenbewertung vorlegt – weder gegenüber der von ihm benannten Vergleichstherapie, noch gegenüber der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die vorliegende Nutzenbewertung erfolgt gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA. Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen.

Ergebnisse

Die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools ergab in Übereinstimmung mit dem pU keine randomisierte kontrollierte Studie (RCT) zum direkten Vergleich von Asciminib gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie. Der pU identifiziert die nicht-vergleichende Dosisesskalationsstudie CABL001X2101 mit Asciminib und stellt diese als bestmögliche verfügbare Evidenz dar.

Die vom pU vorgelegten Auswertungen sind für die Nutzenbewertung von Asciminib gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie aufgrund des fehlenden Vergleichs mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie nicht geeignet.

Ergebnisse zum Zusatznutzen

Da für die Nutzenbewertung keine geeigneten Daten vorliegen, ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Asciminib 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 Asciminib.

Tabelle 3: Asciminib – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
erwachsene Patientinnen und Patienten mit Ph+ CML-CP mit T315I-Mutation, die gegenüber Ponatinib resistent oder intolerant sind oder für die Ponatinib nicht geeignet ist	BSC ^b	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Als BSC wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet. BSC: Best supportive Care; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; Ph+ CML-CP: Philadelphia-Chromosom-positive chronische myeloische Leukämie in der chronischen Phase; T315I: Punktmutation des BCR::ABL-Proteins an Position 315 mit Austausch Threonin gegen Isoleucin		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.