

Selpercatinib

(RET-Fusions-positive solide Tumoren, 2 bis < 18 Jahre)

Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

A horizontal bar composed of 18 colored squares. The first 15 squares are light blue, the 16th is dark blue, the 17th is medium blue, and the 18th is dark blue. The text 'DOSSIERBEWERTUNG' is centered in white on the 16th square.

DOSSIERBEWERTUNG

Projekt: A26-69

Version: 1.0

Stand: 10.09.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2335

DOI: 10.60584/A26-69

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Selpercatinib (RET-Fusions-positive solide Tumoren, 2 bis < 18 Jahre) – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

15.06.2026

Interne Projektnummer

A26-69

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/A26-69>

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. Selpercatinib (RET-Fusions-positive solide Tumoren, 2 bis < 18 Jahre); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/A26-69>.

Schlagwörter

Selpercatinib, Tumoren, Genfusion, Kind, Adolescent, Nutzenbewertung

Keywords

Selpercatinib, Neoplasms, Gene Fusion, Child, Adolescent, Benefit Assessment

Medizinisch-fachliche Beratung

- Ingo Schmidt-Wolf, Universitätsklinikum Bonn

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

Beteiligung von Betroffenen

Im Rahmen der vorliegenden Dossierbewertung gingen keine Rückmeldungen von Betroffenen ein.

An der Dossierbewertung beteiligte Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter des IQWiG

- Merlin Bittlinger
- Ivona Djuric
- Annalena Dunkel
- Ulrich Grouven
- Judith Kratel
- Torben Lütkehermölle
- Sabine Ostlender
- Felix Schwarz
- Volker Vervölgyi

Inhaltsverzeichnis

	Seite
1	Hintergrund..... 1
1.1	Zugelassenes Anwendungsgebiet 1
1.2	Verlauf des Projekts 1
1.3	Verfahren der frühen Nutzenbewertung 2
1.4	Erläuterungen zum Aufbau des Dokuments..... 2
2	Offenlegung von Beziehungen (externe Sachverständige) 4
Teil I:	Nutzenbewertung I.1
Teil II:	Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie..... II.1

1 Hintergrund

1.1 Zugelassenes Anwendungsgebiet

Selpercatinib ist für mehrere Anwendungsgebiete zugelassen. Die vorliegende Dossierbewertung bezieht sich ausschließlich auf folgendes Anwendungsgebiet:

Selpercatinib als Monotherapie wird angewendet zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern ab 2 Jahren mit fortgeschrittenen Rearranged-during-Transfection-Fusions-positiven soliden Tumoren, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf Rearranged during Transfection abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind.

Gegenstand der vorliegenden Dossierbewertung sind dabei pädiatrische Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren.

1.2 Verlauf des Projekts

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Selpercatinib gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.06.2026 übermittelt.

Die vorliegende Bewertung wurde unter Einbindung eines externen Sachverständigen (eines Beraters zu medizinisch-fachlichen Fragen) erstellt. Diese 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.

Für die Bewertung war zudem die Einbindung von Betroffenen beziehungsweise Patientenorganisationen vorgesehen. Diese Einbindung sollte die schriftliche Beantwortung von Fragen zu den Themenbereichen Erfahrungen mit der Erkrankung, Notwendigkeit der Betrachtung spezieller Patientengruppen, Erfahrungen mit den derzeit verfügbaren Therapien für das Anwendungsgebiet, Erwartungen an eine neue Therapie und gegebenenfalls zusätzliche Informationen umfassen. Im Rahmen der vorliegenden Dossierbewertung gingen keine Rückmeldungen von Betroffenen beziehungsweise Patientenorganisationen ein.

Für die vorliegende Nutzenbewertung war ergänzend zu den Angaben in den Modulen 1 bis 4 die Verwendung von Informationen aus Modul 5 des Dossiers des pU notwendig. Es handelte sich dabei um Informationen zu Studienmethodik und Studienergebnissen. Die entsprechenden Angaben wurden in den vorliegenden Bericht zur Nutzenbewertung aufgenommen.

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 zu der Nutzenbewertung ein Stellungnahmeverfahren durchführt. Die Beschlussfassung über den Zusatznutzen, die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der Zielpopulation der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) sowie über die Kosten der Therapie für die GKV erfolgt durch den G-BA im Anschluss an das Stellungnahmeverfahren.

1.3 Verfahren der frühen Nutzenbewertung

Die vorliegende Dossierbewertung ist Teil des Gesamtverfahrens zur frühen Nutzenbewertung. Sie wird gemeinsam mit dem Dossier des pU (Module 1 bis 4) auf der Website des G-BA veröffentlicht. Im Anschluss daran führt der G-BA ein Stellungnahmeverfahren zu der Dossierbewertung durch. Der G-BA trifft seinen Beschluss zur frühen Nutzenbewertung nach Abschluss des Stellungnahmeverfahrens. Durch den Beschluss des G-BA werden gegebenenfalls die in der Dossierbewertung dargestellten Informationen ergänzt.

Weitere Informationen zum Stellungnahmeverfahren und zur Beschlussfassung des G-BA sowie das Dossier des pU finden sich auf der Website des G-BA (www.g-ba.de).

1.4 Erläuterungen zum Aufbau des Dokuments

Die vorliegende Dossierbewertung gliedert sich in 2 Teile, jeweils ggf. plus Anhänge. Die nachfolgende Tabelle 1 zeigt den Aufbau des Dokuments im Detail.

Tabelle 1: Erläuterungen zum Aufbau des Dokuments

Teil I – Nutzenbewertung	
Kapitel I 1	▪ Zusammenfassung der Ergebnisse der Nutzenbewertung
Kapitel I 2 bis I 5	▪ Darstellung des Ergebnisses der Nutzenbewertung im Detail ▪ Angabe, ob und inwieweit die vorliegende Bewertung von der Einschätzung des pU im Dossier abweicht
Teil II – Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie	
Kapitel II 1 bis II 2	Kommentare zu folgenden Modulen des Dokuments des pU: ▪ Modul 3 D, Abschnitt 3.2 (Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen) ▪ Modul 3 D, Abschnitt 3.3 (Kosten der Therapie für die gesetzliche Krankenversicherung)
pU: pharmazeutischer Unternehmer; SGB: Sozialgesetzbuch	

Bei der Dossierbewertung werden die Anforderungen berücksichtigt, die in den vom G-BA bereitgestellten Dossiervorlagen beschrieben sind (siehe Verfahrensordnung des G-BA [1]). Kommentare zum Dossier und zum Vorgehen des pU sind an den jeweiligen Stellen der Nutzenbewertung beschrieben.

Bei Abschnittsverweisen, die sich auf Abschnitte im Dossier des pU beziehen, ist zusätzlich das betroffene Modul des Dossiers angegeben. Abschnittsverweise ohne Angabe eines Moduls beziehen sich auf den vorliegenden Bericht zur Nutzenbewertung.

2 Offenlegung von Beziehungen (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
Schmidt-Wolf, Ingo	ja	nein	nein	nein	ja	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?

Teil I: Nutzenbewertung

I Inhaltsverzeichnis

	Seite
I Tabellenverzeichnis	I.3
I Abkürzungsverzeichnis	I.4
I 1 Kurzfassung der Nutzenbewertung	I.5
I 2 Fragestellung.....	I.7
I 3 Informationsbeschaffung und Studienpool	I.8
I 4 Ergebnisse zum Zusatznutzen	I.10
I 5 Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens.....	I.11
I 6 Literatur	I.12
I Anhang A Suchstrategien.....	I.13
I Anhang B Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung	I.14

I Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Erläuterungen zum Aufbau des Dokuments	2
Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Selpercatinib.....	I.5
Tabelle 3: Selpercatinib – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens	I.6
Tabelle 4: Fragestellung der Nutzenbewertung von Selpercatinib.....	I.7
Tabelle 5: Selpercatinib – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens	I.11

I Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
BSC	Best supportive Care
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
pU	pharmazeutischer Unternehmer
RCT	Randomized controlled Trial (randomisierte kontrollierte Studie)
RET	Rearranged during Transfection
SGB	Sozialgesetzbuch

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 Selpercatinib gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 15.06.2026 übermittelt.

Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Selpercatinib im Vergleich mit Best supportive Care als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen Rearranged-during-Transfection-Fusions-positiven soliden Tumoren, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind.

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

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Selpercatinib

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a
Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^b , wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	BSC ^c
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist; für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor. c. 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; RET: Rearranged during Transfection	

Der pU folgt der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Dies entspricht den Einschlusskriterien des pU.

Ergebnisse

Durch die Überprüfung wurde keine relevante Studie zum direkten Vergleich von Selpercatinib mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie identifiziert.

Der pU führt keine Informationsbeschaffung zu weiteren Untersuchungen durch weder zu Selpercatinib noch zur zweckmäßigen Vergleichstherapie. Dennoch stellt der pU die 1-armige Zulassungsstudie LIBRETTO-121 ergänzend als bestverfügbare Evidenz dar. Die vorgelegte 1-armige Studie ermöglicht jedoch keinen Vergleich mit der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie und ist damit für die Nutzenbewertung von Selpercatinib nicht geeignet.

Ergebnisse zum Zusatznutzen

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

Tabelle 3: Selpercatinib – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^b , bei denen Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	BSC ^c	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist; für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor. c. 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; RET: Rearranged during Transfection		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.

I 2 Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens von Selpercatinib im Vergleich mit Best supportive Care (BSC) als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen Rearranged-during-Transfection(RET)-Fusions-positiven soliden Tumoren, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind.

Aus der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie des G-BA ergibt sich die in Tabelle 4 dargestellte Fragestellung.

Tabelle 4: Fragestellung der Nutzenbewertung von Selpercatinib

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a
Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^b , wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	BSC ^c
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist; für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor. c. 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; RET: Rearranged during Transfection	

Der pU folgt der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Dies entspricht den Einschlusskriterien des pU.

I 3 Informationsbeschaffung und Studienpool

Der Studienpool der Bewertung wurde anhand der folgenden Angaben zusammengestellt:

Quellen des pU im Dossier:

- Studienliste zu Selpercatinib (Stand zum 24.03.2026)
- bibliografische Recherche zu Selpercatinib (letzte Suche am 24.03.2026)
- Suche in Studienregistern / Studienergebnisdatenbanken zu Selpercatinib (letzte Suche am 24.03.2026)
- Suche auf der Internetseite des G-BA zu Selpercatinib (letzte Suche am 24.03.2026)

Die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools erfolgte durch:

- Suche in Studienregistern zu Selpercatinib (letzte Suche am 25.06.2026), Suchstrategien siehe I Anhang A

Durch die Überprüfung wurde in Übereinstimmung mit dem pU keine relevante Studie zum direkten Vergleich von Selpercatinib mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie identifiziert.

Der pU führt keine Informationsbeschaffung zu weiteren Untersuchungen durch weder zu Selpercatinib noch zur zweckmäßigen Vergleichstherapie. Dennoch stellt der pU die 1-armige Zulassungsstudie LIBRETTO-121 [2] ergänzend als bestverfügbare Evidenz dar. Die vorgelegte 1-armige Studie ermöglicht jedoch keinen Vergleich mit der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie und ist damit für die Nutzenbewertung von Selpercatinib nicht geeignet. Im Folgenden wird die Studie des pU beschrieben.

Studie LIBRETTO-121

Bei der Studie LIBRETTO-121 handelt es sich um eine multizentrische, offene, 1-armige Studie mit Selpercatinib zur Behandlung von fortgeschrittenen soliden Tumoren oder primären Tumoren des Zentralnervensystems mit einer Alteration im RET-Gen. Die Studie besteht aus 2 Teilen: einer Dosis-Eskalations-Phase (Phase 1) zur Ermittlung der maximal tolerierbaren Dosis und einer anschließenden Dosis-Expansions-Phase (Phase 2), in der die zuvor ermittelte Dosis in mehreren Kohorten abhängig von Tumorentität und RET-Status angewendet wurde. Eingeschlossen wurden Patientinnen und Patienten im Alter zwischen 6 Monaten und 21 Jahren mit lokal fortgeschrittenen oder metastasierten soliden Tumoren oder primären Tumoren des Zentralnervensystems mit einer aktivierenden Alteration im RET-Gen, darunter RET-Fusionen, die entweder einen Rückfall, einen Progress oder ein Nichtansprechen unter den verfügbaren Therapien aufwiesen und für die keine Standardtherapie bzw. keine verfügbare kurative systemische Therapie existierte. Die Behandlung mit Selpercatinib erfolgte weitestgehend entsprechend der Vorgaben der Fachinformation [3]. In der Dosis-

Expansion-Phase erhielten alle Patientinnen und Patienten eine Dosierung von 92 mg/m² Körperoberfläche (mit einer maximalen Dosis von 160 mg) 2-mal täglich. Gemäß Fachinformation soll die Dosierung jedoch abhängig von Alter und Körpergewicht bzw. Körperoberfläche erfolgen.

Die vom pU in Modul 4 D vorgelegten Daten zur Studie LIBRETTO-121 sind für die Nutzenbewertung nicht geeignet, da sie keinen Vergleich von Selpercatinib gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie ermöglicht. Der pU legt keine Daten zur zweckmäßigen Vergleichstherapie vor. Es liegen somit keine geeigneten Daten vor.

I 4 Ergebnisse zum Zusatznutzen

Für die Bewertung des Zusatznutzen von Selpercatinib zur Behandlung von pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind, liegen zum Vergleich mit der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie keine geeigneten Daten vor. Es ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Selpercatinib gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie, ein Zusatznutzen ist damit nicht belegt.

I 5 Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Tabelle 5 stellt zusammenfassend das Ergebnis der Bewertung des Zusatznutzens von Selpercatinib im Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie dar.

Tabelle 5: Selpercatinib – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

Indikation	Zweckmäßige Vergleichstherapie ^a	Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens
Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^b , wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	BSC ^c	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist; für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor. c. 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; RET: Rearranged during Transfection		

Die oben beschriebene Einschätzung weicht von der des pU ab. Der pU beansprucht einen Anhaltspunkt für einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen.

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.

I 6 Literatur

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

1. Gemeinsamer Bundesausschuss. Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses [online]. URL: <https://www.g-ba.de/richtlinien/42/>.
2. Eli Lilly. A Study of Oral LOXO-292 (Selpercatinib) in Pediatric Participants With Advanced Solid or Primary Central Nervous System (CNS) Tumors (LIBRETTO-121) [online]. 2026 [Zugriff: 16.06.2026]. URL: <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03899792>.
3. Eli Lilly Nederland. Fachinformation Selpercatinib (RETSEVMO). Stand: Juni. 06.2026.

I Anhang A Suchstrategien

Studienregister

Suche zu Selpercatinib

1. ClinicalTrials.gov

Anbieter: U.S. National Institutes of Health

- URL: <http://www.clinicaltrials.gov/>
- Eingabeoberfläche: Basic Search

Suchstrategie
selpercatinib OR LOXO-292 OR LY3527723 [Other terms]

2. EU Clinical Trials Register

Anbieter: European Medicines Agency

- URL: <https://www.clinicaltrialsregister.eu/ctr-search/search>
- Eingabeoberfläche: Basic Search

Suchstrategie
selpercatinib* OR LOXO-292 OR LOXO292 OR (LOXO 292) OR LY-3527723 OR LY3527723 OR (LY 3527723)

3. Clinical Trials Information System (CTIS)

Anbieter: European Medicines Agency

- URL: <https://euclinicaltrials.eu/search-for-clinical-trials>
- Eingabeoberfläche: Basic Search

Suchstrategie
selpercatinib, LOXO-292, LOXO292, LY-3527723, LY3527723 [contain any of these]

I Anhang B Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung

Nachfolgend werden die Angaben des pU aus Modul 1, Abschnitt 1.8 „Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung“ ohne Anpassung dargestellt.

„Die folgenden Informationen zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung von Selpercatinib beziehen sich auf das vorliegende Anwendungsgebiet.

Vor Beginn der Behandlung mit Selpercatinib ist das Vorliegen einer RET-Genfusion mittels eines CE-gekennzeichneten In vitro-Diagnostikums (IVD) mit entsprechendem Verwendungszweck zu bestimmen. Ist kein CE-gekennzeichnetes IVD verfügbar, sollte ein alternativer validierter Test verwendet werden.

Die Behandlung mit Selpercatinib sollte von onkologisch erfahrenen Ärzten eingeleitet und überwacht werden.

Es bestehen keine besonderen Anforderungen an die Infrastruktur.

Selpercatinib ist zur oralen Einnahme bestimmt. Die empfohlene, gewichtsabhängige Dosis von Selpercatinib für Patienten ab 12 Jahren ist:

- weniger als 50 kg: 120 mg zweimal täglich*
- 50 kg oder mehr: 160 mg zweimal täglich*

Die empfohlene Dosis von Selpercatinib für pädiatrische Patienten im Alter von 2 bis unter 12 Jahren richtet sich nach den folgenden Kategorien der Körperoberfläche (BSA) (Tabelle 1-13):

Tabelle 1-13: Empfohlene Dosis für pädiatrische Patienten im Alter von 2 bis unter 12 Jahren

Körperoberfläche (BSA)	Empfohlene Dosis
0,45 bis 0,65 m ²	40 mg dreimal täglich
0,66 bis 1,08 m ²	80 mg zweimal täglich
1,09 bis 1,52 m ²	120 mg zweimal täglich
≥1,53 m ²	160 mg zweimal täglich
BSA: Körperoberfläche; m ² : Quadratmeter; mg: Milligramm	

Selpercatinib wird für pädiatrische Patienten mit einer Körperoberfläche von weniger als 0,45 m² nicht empfohlen. Für pädiatrische Patienten, die keine Kapseln schlucken können, sind Tabletten erhältlich (siehe Fachinformation für Tabletten).

Die Behandlung sollte bis zum Krankheitsprogress oder inakzeptabler Toxizität fortgesetzt werden.

Die Patienten sollten auf pulmonale Symptome überwacht werden, die auf eine ILD/Pneumonitis hindeuten.

ALT und AST sollten vor Beginn der Selpercatinib-Therapie überprüft werden, alle 2 Wochen während der ersten 3 Monate der Behandlung, monatlich für die nächsten 3 Monate der Behandlung und ansonsten, wenn klinisch indiziert.

Der Blutdruck des Patienten sollte vor und während der Selpercatinib-Behandlung überwacht und je nach Notwendigkeit mit einer antihypertensiven Standardtherapie behandelt werden.

Bevor eine Therapie mit Selpercatinib begonnen wird, sollten Patienten ein QTcF-Intervall von ≤ 470 ms (≤ 440 ms bei Patienten unter 12 Jahren) und Serum-Elektrolyte im Normbereich aufweisen. Elektrokardiogramme und Serum-Elektrolyte sollten bei allen Patienten überwacht werden. Das QT-Intervall sollte mit Hilfe von Elektrokardiogrammen häufiger bei Patienten überwacht werden, die eine Behandlung mit begleitenden Arzneimitteln benötigen, von denen bekannt ist, dass sie das QT-Intervall verlängern.

Spezielle Notfallmaßnahmen sind nicht vorgesehen.

Selpercatinib wird vorwiegend durch Cytochrom P450 (CYP) 3A4 metabolisiert. Die gleichzeitige Anwendung von starken CYP3A4-Induktoren sollte aufgrund des Risikos einer verminderten Wirksamkeit von Selpercatinib vermieden werden. Eine parallele Verabreichung mit empfindlichen CYP2C8- und CYP3A4-Substraten sollte vermieden werden.

Selpercatinib ist in vitro ein Substrat des P-Glykoproteins (P-gp) und des Breast Cancer Resistance Proteins (BCRP), jedoch scheinen diese Transporter die orale Absorption von Selpercatinib nicht einzuschränken. Wenn starke CYP3A- und/oder P-gp-Inhibitoren parallel verabreicht werden müssen, sollte die Selpercatinib-Dosis reduziert werden.

Selpercatinib weist eine pH-abhängige Löslichkeit auf mit geringerer Löslichkeit bei höheren pH-Werten.

Selpercatinib inhibiert den renalen Multidrug and Toxin Extrusion Protein 1-Transporter (MATE1). In vivo können Selpercatinib-Interaktionen mit klinisch relevanten MATE1-Substraten auftreten.

Die Auswirkungen von Mahlzeiten auf die Resorption von Selpercatinib werden als nicht klinisch relevant erachtet.

Selpercatinib sollte bei Kindern unter 2 Jahren nicht angewendet werden, da keine Daten verfügbar sind. Selpercatinib ist zur Behandlung von RET-mutierten medullären Schilddrüsenkarzinomen (MTC), RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinomen sowie RET-Fusions-positiven soliden Tumoren bei Patienten ab einem Alter von 2 Jahren vorgesehen. Patienten ab 12 Jahren sind gewichtsabhängig zu behandeln. Patienten im Alter von 2 bis unter 12 Jahren sind nach Körperoberfläche zu dosieren.

Es liegen keine Daten zur Anwendung von Selpercatinib bei Schwangeren vor. Der Einsatz von Selpercatinib in der Schwangerschaft und bei gebärfähigen Frauen ohne Anwendung eines Verhütungsmittels wird nicht empfohlen. Das Stillen sollte während der Behandlung mit Selpercatinib und für mindestens eine Woche nach der letzten Dosis eingestellt werden.“

Teil II: Anzahl der Patientinnen und Patienten sowie Kosten der Therapie

II Inhaltsverzeichnis

	Seite
II Tabellenverzeichnis	II.3
II Abkürzungsverzeichnis	II.4
II 1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 D, Abschnitt 3.2).....	II.5
II 1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation	II.5
II 1.2 Therapeutischer Bedarf.....	II.5
II 1.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	II.5
II 1.3.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	II.5
II 1.3.2 Bewertung des Vorgehens des pU	II.7
II 1.3.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen.....	II.8
II 1.3.4 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten.....	II.8
II 1.3.5 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	II.9
II 2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 D, Abschnitt 3.3)	II.10
II 2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch	II.10
II 2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie	II.11
II 2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	II.11
II 2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung	II.12
II 2.5 Versorgungsanteile	II.13
II 3 Literatur	II.14

II Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	II.6
Tabelle 2: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	II.9
Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie und die zweckmäßige Vergleichstherapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	II.12

II Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
BSC	Best supportive Care
G-BA	Gemeinsamer Bundesausschuss
GKV	gesetzliche Krankenversicherung
ICD-10-GM	International Statistical Classification of Diseases and Related Health Problems, Revision 10, German Modification (Internationale statistische Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Revision, Deutsche Modifikation)
IQWiG	Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen
KOF	Körperoberfläche
NSCLC	Non Small Cell Lung Cancer (nicht kleinzelliges Lungenkarzinom)
pU	pharmazeutischer Unternehmer
RET	Rearranged during Transfection
RKI	Robert Koch-Institut
ZfKD	Zentrum für Krebsregisterdaten

II 1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 D, Abschnitt 3.2)

Die Angaben des pharmazeutischen Unternehmers (pU) zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen befinden sich in Modul 3 D (Abschnitt 3.2) des Dossiers.

II 1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Der pU stellt die Entität der Rearranged-during-Transfection(RET)-Fusions-positiven soliden Tumore nachvollziehbar und plausibel dar.

Die Zielpopulation charakterisiert der pU gemäß der Fachinformation von Selpercatinib [1]. Demnach wird Selpercatinib als Monotherapie im nun erweiterten Anwendungsgebiet angewendet zur Behandlung von Kindern ab 2 Jahren bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind.

Der Gemeinsame Bundesausschuss (G-BA) weist darauf hin, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist. Für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor.

II 1.2 Therapeutischer Bedarf

Laut pU besteht eine medizinische Notwendigkeit, die Therapieoptionen von Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 18 Jahren mit soliden Tumoren zu erweitern und das Fortschreiten der Erkrankungen durch neue und gezielte Behandlungsansätze so lange wie möglich zu verzögern.

II 1.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation

II 1.3.1 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 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	Erwachsene mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren in der GKV, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind ^a	-	51–159
2	Anteil Patientinnen und Patienten von 2 bis < 18 Jahren (GKV-Zielpopulation)	0,33	0–1
a. beschlossene Patientenzahl aus dem Verfahren zu Selpercatinib aus dem Jahr 2024 [2] GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RET: Rearranged during Transfection			

Schritt 1: Erwachsene mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren in der GKV, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind

Der pU entnimmt dem Beschluss zu dem Verfahren zu Selpercatinib aus dem Jahr 2024 [2] eine Anzahl von 51 bis 159 Patientinnen und Patienten. Diese Spanne basiert auf der Herleitung der Patientenzahlen aus einem Dossier zu Selpercatinib [3], welche sich auf erwachsene GKV-Versicherte mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren bezieht, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind. Der unteren Grenze lag dabei ein inzidenzbasierter Ansatz und der oberen Grenze eine 5-Jahres-Prävalenz als Ausgangsbasis zugrunde. Der zugehörigen Dossierbewertung [4] lässt sich eine ausführlichere Beschreibung des Vorgehens entnehmen.

Schritt 2: Anteil Patientinnen und Patienten von 2 bis < 18 Jahren

Zur Ermittlung des Anteils der Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 18 Jahren mit soliden Tumoren zieht der pU Angaben auf Basis einer Datenbankabfrage des Zentrums für Krebsregisterdaten (ZfKD) am Robert Koch-Institut (RKI) (Datenstand: 19.11.2025) [5] heran. Er entnimmt zur Ermittlung der Fallzahlen für die Inzidenz solider Tumore die Gesamtheit an Krebserkrankungen (Diagnosecodes C00 bis C97 ohne C44 [Sonstige bösartige Neubildungen der Haut] gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Version, Deutsche Modifikation [ICD-10-GM]) jeweils für die Jahre 1999 bis 2022 abzüglich der Diagnosecodes für das nicht kleinzellige Lungenkarzinom (NSCLC) (81,65 % der Lungenkarzinome [C33 bis C34]; Mittelwert auf Basis von 2 Publikationen [6,7]), Schilddrüsenkarzinom (C73), Morbus Hodgkin (C81), Non-Hodgkin-Lymphome (C82 bis C88), Multiples Myelom (C90), Leukämien (C91 bis C95) und sonstige bzw. nicht näher bezeichnete bösartige Neubildungen des lymphatischen / blutbildenden Gewebes (C96) [8]. Somit ermittelt der pU jeweils für die einzelnen Jahre 1999 bis 2023 die Fallzahlen

der Inzidenz der soliden Tumore: Sowohl für die Gesamtzahl (Altersgruppe: 0 bis 85 Jahre oder älter) als auch für die Altersgruppe 0 bis 19 Jahre (als Proxy für die Altersgruppe 2 bis < 18 Jahren, da für diese laut pU keine dezidierten Daten vorliegen). Anschließend berechnet der pU jeweils für die einzelnen Jahre den Anteil der 0 bis 19-Jährigen an der Gesamtheit der Fälle mit soliden Tumoren und ermittelt über die Jahre von 1999 bis 2023 einen Mittelwert von 0,33 %.

Bezogen auf die 51 bis 159 Patientinnen und Patienten aus Schritt 1 ermittelt der pU eine Anzahl von 0 bis 1 Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation.

II 1.3.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Die Angaben des pU zur Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation sind rechnerisch weitgehend nachvollziehbar, jedoch insgesamt mit Unsicherheit behaftet. Die Gründe für diese Bewertung werden im Folgenden dargestellt.

Zu Schritt 1: Erwachsene mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren in der GKV, wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind

Die Anzahl von 51 bis 159 Patientinnen und Patienten aus dem Beschluss zu dem Verfahren zu Selpercatinib aus dem Jahr 2024 [2] wurde in der Dossierbewertung zu Selpercatinib [4] als unsicher bewertet. Die Hauptgründe für diese Bewertung waren:

- methodische Mängel in der Operationalisierung und Unsicherheiten in der Übertragbarkeit des Anteils an Patientinnen und Patienten, deren Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind
- Die Nichtberücksichtigung von Patientinnen und Patienten in der unteren Grenze, deren Erkrankung bereits in den Vorjahren diagnostiziert wurde und die im Betrachtungsjahr für eine Therapie mit Selpercatinib infrage kommen, führt zu einer Unterschätzung
- Anteilswert RET-Fusions-positiver solide Tumore unsicher, u. a. da Anteilswerte vom pU nur basierend auf einem Teil der Entitäten ermittelt wurden
- Veranschlagung einer Testrate, welche nicht vorzunehmen ist, da für die GKV-Zielpopulation auch Patientinnen und Patienten infrage kommen, deren vorhandene RET-Fusions-Positivität bisher noch nicht nachgewiesen wurde

Die Kritikpunkte aus dem vorherigen Verfahren bleiben bestehen (siehe hierzu auch die Dossierbewertung zu Selpercatinib [4]) und gelten entsprechend auch für die vorliegende Herleitung.

Zudem geht der pU durch das nach eigenen Angaben mangels belastbarer Daten für Kinder ab 2 Jahren erfolgte Heranziehen der beschlossenen Patientenzahlen für Erwachsene [2] implizit davon aus, dass – abgesehen von der Ausgangsbasis – alle Anteilswerte auf Kinder und Jugendliche von 2 bis < 18 Jahren übertragbar sind. Es besteht Unsicherheit inwiefern diese Annahme zutrifft.

Darüber hinaus ist darauf hinzuweisen, dass im Verfahren zu Selpercatinib aus dem Jahr 2024 [9] das NSCLC vom Anwendungsgebiet ausgeschlossen war. Im vorliegenden Verfahren ist das NSCLC – wie der pU selbst korrekt anmerkt – vom Anwendungsgebiet umfasst und die Patientinnen und Patienten mit NSCLC sind daher zu berücksichtigen. Es ist allerdings einschränkend anzumerken, dass die NSCLC-Fallzahlen in der Altersgruppe der 2 bis < 18-Jährigen vergleichsweise gering sind.

Zu Schritt 2: Anteil Patientinnen und Patienten von 2 bis < 18 Jahren

Die Ermittlung des Anteils an Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 18 Jahren basiert auf Fallzahlen der Inzidenz. Die Übertragung des Anteils auf eine prävalente Ausgangspopulation führt zu Unsicherheit (betrifft nur die Obergrenze).

II 1.3.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen

Es wurden in der vorliegenden Nutzenbewertung keine Patientengruppen mit unterschiedlichen Aussagen zum Zusatznutzen identifiziert. Daher werden keine Patientenzahlen für Patientengruppen mit unterschiedlichen Aussagen zum Zusatznutzen ausgewiesen.

II 1.3.4 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten

Zur Prognose der Änderung der Patientenzahlen in der GKV-Zielpopulation zieht der pU eine durchschnittliche jährliche Änderungsrate in Höhe von –0,16 % heran. Diese ermittelt er auf Basis der vom ZfKD berichteten Fallzahlen der Inzidenz solider Tumoren ICD-10-Codes C00 bis C97 ohne C44 abzüglich der ICD-10-Codes: C33 bis C34 [NSCLC], C73, C81, C82 bis C88, C90, C91-C95) der Jahre 1999 bis 2023 (Datenstand: 19.11.2025) (siehe Schritt 2 in Abschnitt II 1.3.1).

Unter Annahme dieser mittleren jährlichen Änderungsrate errechnet der pU somit die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation bis zum Jahr 2031 (0 bis 1 Patientin bzw. Patient) und geht somit von einer konstanten Anzahl aus.

II 1.3.5 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

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

Bezeichnung der zu bewertenden Therapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Anzahl der Patientinnen und Patienten ^a	Kommentar
Selpercatinib	Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^b , wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	0–1	Insgesamt ist die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation mit Unsicherheit behaftet. Maßgebliche Gründe hierfür sind: ▪ Kritikpunkte aus der Dossierbewertung zu Selpercatinib [4], die auch für die vorliegende Herleitung gelten ▪ Übertragbarkeit von Anteilswerten, die sich auch auf Erwachsene beziehen, auf Kinder und Jugendliche ab 2 bis < 18 Jahren
a. Angabe des pU b. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist; für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RET: Rearranged during Transfection			

II 2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 D, Abschnitt 3.3)

Die Angaben des pU zu den Kosten der Therapie für die GKV befinden sich in Modul 3 D (Abschnitt 3.3) des Dossiers.

Der G-BA hat für Selpercatinib die folgende zweckmäßige Vergleichstherapie benannt:

- Best supportive Care (BSC)

Als BSC wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet.

Der pU gibt an, dass für BSC die Anzahl der Behandlungen, der Verbrauch und die Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen patientenindividuell unterschiedlich sind. Dies ist plausibel. Daher entfällt eine weitere Kommentierung zu BSC in den Abschnitten II 2.1 und II 2.3.

II 2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer und zum Verbrauch von Selpercatinib entsprechen der Fachinformation [1]. Der Verbrauch von Selpercatinib richtet sich nach dem Alter und dem Körpergewicht bzw. der Körperoberfläche (KOF) [1]. Demnach ergeben sich für Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren abhängig vom Körpergewicht folgende Dosierungen:

- Körpergewicht < 50 kg: 120 mg 2-mal täglich und
- Körpergewicht ≥ 50 kg: 160 mg 2-mal täglich.

Für Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren ergeben sich abhängig von der KOF folgende Dosierungen:

- 0,45 bis 0,65 m² KOF: 40 mg 3-mal täglich,
- 0,66 bis 1,08 m² KOF: 80 mg 2-mal täglich,
- 1,09 bis 1,52 m² KOF: 120 mg 2-mal täglich und
- ≥ 1,53 m² KOF: 160 mg 2-mal täglich.

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.

II 2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie

Die Angaben des pU zu den Kosten von Selpercatinib (in Form von Hartkapseln) geben korrekt den Stand der Lauer-Taxe vom 01.06.2026 wieder.

Gemäß Fachinformation von Selpercatinib [1] sind für pädiatrische Patientinnen und Patienten, die keine Kapseln schlucken können, Tabletten (gelistet in der Lauer-Taxe seit dem 01.08.2026) erhältlich. Es ist darauf hinzuweisen, dass sich auf Grundlage der Tabletten höhere Kosten ergeben.

Der pU stellt die Kosten für BSC mithilfe der Tagespauschale (225,00 €) für eine vollständige spezialisierte ambulante palliative Versorgung der Kassenärztlichen Vereinigung Nordrhein dar [10]. Die Kosten für BSC sind patientenindividuell unterschiedlich.

II 2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU setzt für Selpercatinib keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an. Es ist allerdings darauf hinzuweisen, dass gemäß Fachinformation bei jugendlichen Patientinnen und Patienten offene Wachstumsfugen überwacht werden müssen [1].

Für einen Teil der Patientinnen und Patienten können Kosten für die Testung auf RET-Fusions-Positivität anfallen, die der pU nicht veranschlagt.

II 2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 3: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie und die zweckmäßige Vergleichstherapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr

Bezeichnung der zu bewertenden Therapie bzw. der zweckmäßigen Vergleichstherapie	Bezeichnung der Patientengruppe	Arzneimittelkosten in € ^a	Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen in € ^a	Kosten für sonstige GKV-Leistungen (gemäß Hilfstaxe) in € ^a	Jahrestherapiekosten in € ^a	Kommentar
Zu bewertende Therapie						
Selpercatinib ^b	Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^c , wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	17 610,53 ^d – 46 718,70 ^e	0	0	17 610,53 ^d – 46 718,70 ^e	Die Arzneimittelkosten sind plausibel. Es fallen Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an, die der pU nicht veranschlagt.
Zweckmäßige Vergleichstherapie						
BSC ^f	Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 18 Jahren mit fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven soliden Tumoren ^c , wenn Behandlungsoptionen, die nicht auf RET abzielen, nur begrenzten klinischen Nutzen bieten oder ausgeschöpft sind	patientenindividuell unterschiedlich, bis zu 82 125,00 € ^g				Die Kosten sind patientenindividuell unterschiedlich.
a. Angaben des pU b. In der vorliegenden Bewertung wird davon ausgegangen, dass Kosten für BSC auch bei Anwendung des zu bewertenden Arzneimittels anfallen. c. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass das Schilddrüsenkarzinom nicht von dem vorliegenden Anwendungsgebiet umfasst ist; für diese Indikation liegt ein separates Anwendungsgebiet für Selpercatinib vor. d. Die Untergrenze bezieht sich auf Patientinnen und Patienten im Alter < 12 Jahre mit einer KOF von 0,45 bis 0,65 m² e. Die Obergrenze bezieht sich auf Patientinnen und Patienten im Alter von < 12 Jahre mit einer KOF von ≥ 1,53 m² sowie diejenigen ab 12 Jahren mit einem Körpergewicht von ≥ 50 kg beziehen f. Als BSC wird diejenige Therapie verstanden, die eine bestmögliche, patientenindividuell optimierte, unterstützende Behandlung zur Linderung von Symptomen und Verbesserung der Lebensqualität gewährleistet. g. basierend auf einer Behandlungsdauer von 365 Tagen mit einer Tagespauschale (225,00 €) für eine vollständige spezialisierte ambulante palliative Versorgung der Kassenärztlichen Vereinigung Nordrhein [10] BSC: Best supportive Care; G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; KOF: Körperoberfläche; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RET: Rearranged during Transfection						

II 2.5 Versorgungsanteile

Der pU gibt an, dass zu erwartende Versorgungsanteile von Selpercatinib aufgrund verschiedener Therapieoptionen in der Zweitlinie und späteren Therapielinien derzeit nicht zuverlässig abzuschätzen seien. Zudem macht er Angaben zu Kontraindikationen und geht davon aus, dass die Patientinnen und Patienten sowohl im ambulanten als auch im stationären Bereich behandelt werden.

II 3 Literatur

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

1. Eli Lilly Nederland. Fachinformation Selpercatinib (RETSEVMO). 06.2026.
2. Gemeinsamer Bundesausschuss. Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V) Selpercatinib (neues Anwendungsgebiet: solide Tumore, RET-Fusion+) [online]. 2024. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-6899/2024-11-07_AM-RL-XII_Selpercatinib_D-1062_BAnz.pdf.
3. Lilly Deutschland. Dossier zur Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V Selpercatinib (Retsevmo); Modul 3 D; RET-Fusions-positive solide Tumoren [online]. 2024. URL: https://www.g-ba.de/downloads/92-975-7685/2024_05_15_Modul3D_Selpercatinib.pdf.
4. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Selpercatinib (RET-Fusions-positive solide Tumoren); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2024 [Zugriff: 16.08.2024]. URL: <https://doi.org/10.60584/A24-63>.
5. Zentrum für Krebsregisterdaten. Datenbankabfrage: Solide Tumoren (ohne ICD-10-C33, C34 [NSCLC], C44 und C73). Inzidenz, Fallzahlen in Deutschland (Datenstand 19.11.2025) [online]. 2025. URL: https://www.krebsdaten.de/Krebs/DE/Datenbankabfrage/datenbankabfrage_stufe1_node.html.
6. Tumorregister München. ICD-10 C34: Lungentumor Survival [online]. 2022. URL: https://www.tumorregister-muenchen.de/facts/surv/sC34_G-ICD-10-C34-Lungentumor-Survival.pdf.
7. Blum T, van Tol KK. 8. Bundesweite Onkologische Qualitätskonferenz 2020 - Versorgungssituation beim Lungenkarzinom [online]. 2020. URL: https://download.adt-netzwerk.com/8_qk_2020/8_boqk_2020_lunge.pdf.
8. Lilly Deutschland. Berechnungsschritte der Angaben im Abschnitt 3.2 des Moduls 3D im Rahmen der Nutzenbewertung von Selpercatinib. 2026.
9. Gemeinsamer Bundesausschuss. Tragende Gründe zum Beschluss des Gemeinsamen Bundesausschusses über eine Änderung der Arzneimittel-Richtlinie: Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a des Fünften Buches Sozialgesetzbuch (SGB V); Selpercatinib (neues Anwendungsgebiet: solide Tumore, RET-Fusion+) [online]. 2024 [Zugriff: 10.08.2026]. URL: https://www.g-ba.de/downloads/40-268-10938/2024-11-07_AM-RL-XII_Selpercatinib_D-1062_TrG.pdf.

10. Kassenärztliche Vereinigung Nordrhein. Vertrag über die Erbringung Spezialisierter ambulanter Palliativversorgung (SAPV) in Nordrhein gemäß § 132 d SGB V i. V. m. § 37 b SGB V [online]. URL:

https://www.kvno.de/fileadmin/shared/pdf/online/vertraege/palliativ/sapv_vertrag.pdf.