

Selpercatinib (RET-Fusions-positives Schilddrüsenkarzinom, 2 bis < 12 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: A26-70

Version: 1.0

Stand: 10.09.2026

IQWiG-Berichte – Nr. 2336

DOI: 10.60584/A26-70

Impressum

Herausgeber

Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen

Thema

Selpercatinib (RET-Fusions-positives Schilddrüsenkarzinom, 2 bis < 12 Jahre) –
Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V

Auftraggeber

Gemeinsamer Bundesausschuss

Datum des Auftrags

15.06.2026

Interne Projektnummer

A26-70

DOI-URL

<https://doi.org/10.60584/A26-70>

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-positives Schilddrüsenkarzinom, 2 bis < 12 Jahre); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2026 [Zugriff: TT.MM.JJJJ]. URL: <https://doi.org/10.60584/A26-70>.

Schlagwörter

Selpercatinib, Schilddrüsentumoren, Genfusion, Kind, Nutzenbewertung

Keywords

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

Medizinisch-fachliche Beratung

- Jochem Potenberg, Ev. Waldkrankenhaus, Berlin

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
- Nadia Abu Rajab-Conrads
- Christiane Balg
- Ivona Djuric
- Annalena Dunkel
- Ulrich Grouven
- Christopher Kunigkeit
- Sabine Ostlender
- 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 fortgeschrittenem Rearranged-during-Transfection-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist).

Gegenstand der vorliegenden Dossierbewertung sind dabei pädiatrische Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 12 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.

Die Beteiligten außerhalb des IQWiG, die in das Projekt eingebunden wurden, erhielten keine Einsicht in das Dossier des pU.

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 C, Abschnitt 3.2 (Anzahl der Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen) ▪ Modul 3 C, 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 Dokuments 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 (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?

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
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 Sorafenib als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren bis < 12 Jahren mit fortgeschrittenem Rearranged-during-Transfection-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist).

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 < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist)	Sorafenib ^{b, c}
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapien wurde davon ausgegangen, dass kurative Behandlungsmaßnahmen und lokale Behandlungsoptionen nicht mehr in Betracht kommen. Gemäß G-BA wird zudem davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten aufgrund ihrer Symptomatik die Indikation für eine systemische antineoplastische Therapie besteht und daher unter anderem eine abwartende Strategie („Watch & Wait“) nicht in Betracht kommt. c. Die Zulassung und Dosierungsangaben der Fachinformation der Wirkstoffe sind zu berücksichtigen; Abweichungen sind gesondert zu begründen. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; RET: Rearranged during Transfection	

Der pU weicht von der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie ab und benennt dabei als Therapieoption eine individualisierte Therapie unter Auswahl von Sorafenib, Lenvatinib und Best supportive Care. Für die vorliegende Nutzenbewertung bleibt die beschriebene Abweichung 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 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 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 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 < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist)	Sorafenib ^{b, c}	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapien wurde davon ausgegangen, dass kurative Behandlungsmaßnahmen und lokale Behandlungsoptionen nicht mehr in Betracht kommen. Gemäß G-BA wird zudem davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten aufgrund ihrer Symptomatik die Indikation für eine systemische antineoplastische Therapie besteht und daher unter anderem eine abwartende Strategie („Watch & Wait“) nicht in Betracht kommt. c. Die Zulassung und Dosierungsangaben der Fachinformation der Wirkstoffe sind zu berücksichtigen; Abweichungen sind gesondert zu begründen. 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 Sorafenib als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren bis < 12 Jahren mit fortgeschrittenem Rearranged-during-Transfection(RET)-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist).

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 < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist)	Sorafenib ^{b, c}
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapien wurde davon ausgegangen, dass kurative Behandlungsmaßnahmen und lokale Behandlungsoptionen nicht mehr in Betracht kommen. Gemäß G-BA wird zudem davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten aufgrund ihrer Symptomatik die Indikation für eine systemische antineoplastische Therapie besteht und daher unter anderem eine abwartende Strategie („Watch & Wait“) nicht in Betracht kommt. c. Die Zulassung und Dosierungsangaben der Fachinformation der Wirkstoffe sind zu berücksichtigen; Abweichungen sind gesondert zu begründen. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; RET: Rearranged during Transfection	

Der pU weicht von der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie ab und benennt dabei als Therapieoption eine individualisierte Therapie unter Auswahl von Sorafenib, Lenvatinib und Best supportive Care. Für die vorliegende Nutzenbewertung bleibt die beschriebene Abweichung 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 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 mehrere 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 Patientinnen und Patienten mit RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, 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-Expansions-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 C 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 < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist), 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 < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Iod ist (wenn radioaktives Iod angemessen ist)	Sorafenib ^{b, c}	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapien wurde davon ausgegangen, dass kurative Behandlungsmaßnahmen und lokale Behandlungsoptionen nicht mehr in Betracht kommen. Gemäß G-BA wird zudem davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten aufgrund ihrer Symptomatik die Indikation für eine systemische antineoplastische Therapie besteht und daher unter anderem eine abwartende Strategie („Watch & Wait“) nicht in Betracht kommt. c. Die Zulassung und Dosierungsangaben der Fachinformation der Wirkstoffe sind zu berücksichtigen; Abweichungen sind gesondert zu begründen. 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 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 Abbildungsverzeichnis	II.4
II Abkürzungsverzeichnis	II.5
II 1 Kommentar zur Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen (Modul 3 C, Abschnitt 3.2)	II.6
II 1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation	II.6
II 1.2 Therapeutischer Bedarf.....	II.6
II 1.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	II.6
II 1.3.1 Beschreibung des Vorgehens des pU	II.6
II 1.3.2 Bewertung des Vorgehens des pU	II.8
II 1.3.3 Anzahl der Patientinnen und Patienten mit therapeutisch bedeutsamem Zusatznutzen.....	II.9
II 1.3.4 Zukünftige Änderung der Anzahl der Patientinnen und Patienten.....	II.9
II 1.3.5 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung	II.10
II 2 Kommentar zu den Kosten der Therapie für die GKV (Modul 3 C, Abschnitt 3.3).II.11	II.11
II 2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch	II.11
II 2.2 Kosten des zu bewertenden Arzneimittels und der zweckmäßigen Vergleichstherapie	II.12
II 2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen.....	II.12
II 2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung	II.13
II 2.5 Versorgungsanteile	II.14
II 3 Literatur	II.15

II Tabellenverzeichnis

	Seite
Tabelle 1: Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	II.10
Tabelle 2: Kosten für die GKV für die zu bewertende Therapie und die zweckmäßige Vergleichstherapie pro Patientin oder Patient bezogen auf 1 Jahr	II.13

II Abbildungsverzeichnis

	Seite
Abbildung 1: Schritte des pU zur Ermittlung der Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation	II.7

II Abkürzungsverzeichnis

Abkürzung	Bedeutung
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)
KOF	Körperoberfläche
pU	pharmazeutischer Unternehmer
RAI	radioaktives Jod
RET	Rearranged during Transfection
ZfKD	Zentrum für Krebsregisterdaten

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

II 1.1 Beschreibung der Erkrankung und Charakterisierung der Zielpopulation

Die Erkrankung des Schilddrüsenkarzinoms stellt der pharmazeutische Unternehmer (pU) nachvollziehbar und plausibel dar.

Selpercatinib als Monotherapie wird laut Fachinformation [1] unter anderem angewendet zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern ab 2 Jahren mit fortgeschrittenem Rearranged-during-Transfection(RET)-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für radioaktives Jod (RAI) ist (wenn RAI angemessen ist). Die Zielpopulation charakterisiert der pU korrekt gemäß Auftrag des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) als Kinder ab 2 bis < 12 Jahren.

In der vorliegenden Bewertung wird gemäß G-BA davon ausgegangen, dass kurative Behandlungsmaßnahmen und lokale Behandlungsoptionen nicht mehr in Betracht kommen. Gemäß G-BA wird zudem davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten aufgrund ihrer Symptomatik die Indikation für eine systemische antineoplastische Therapie besteht und daher unter anderem eine abwartende Strategie („Watch & Wait“) nicht in Betracht kommt.

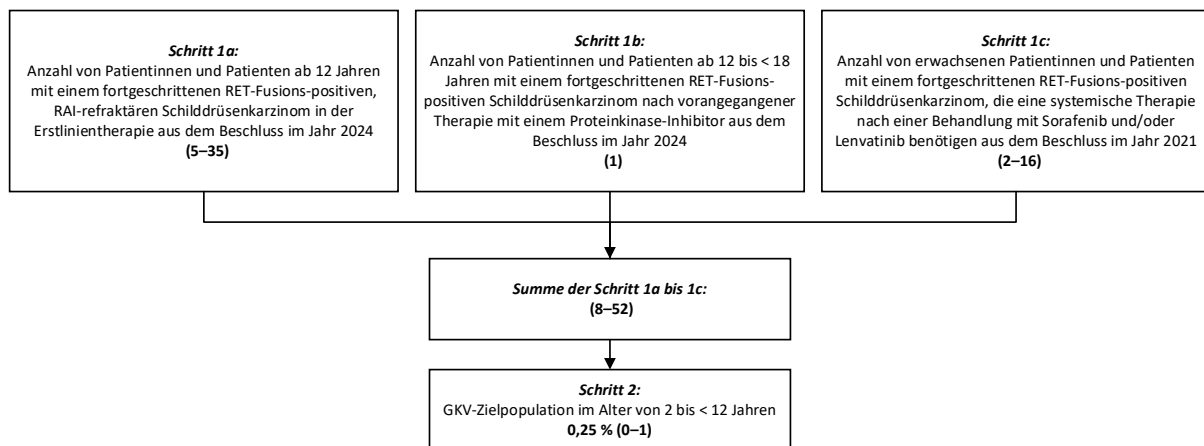
II 1.2 Therapeutischer Bedarf

Laut pU besteht für Patientinnen und Patienten mit fortgeschrittenem RAI-refraktärem Schilddrüsenkarzinom eine medizinische Notwendigkeit, die Therapieoptionen zu erweitern bzw. eine spezifische Therapieoption für Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren mit RET-Fusion zu schaffen und das Fortschreiten der Erkrankung 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 Abbildung 1 zusammengefasst dargestellt sind und anschließend beschrieben werden.



Angabe der Anzahl an Patientinnen und Patienten für den jeweiligen Schritt in Klammern

GKV: gesetzliche Krankenversicherung; RAI: Radiojod; RET: Rearranged during Transfection; pU: pharmazeutischer Unternehmer

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

Schritte 1a bis 1c: Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom in der GKV

Der pU legt zunächst die Beschlusszahlen früherer Nutzenbewertungsverfahren zu Selpercatinib in einem Alter ab 12 Jahren zu fortgeschrittenen Schilddrüsenkarzinomen zugrunde [2,3]. Hierzu zählt er zum einen die Anzahlen aus dem Beschluss zu Selpercatinib aus dem Jahr 2024 zur Erstlinienbehandlung von Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren (Schritt 1a) und zu Patientinnen und Patienten im Alter von 12 bis < 18 Jahren, die eine vorangegangene Therapie mit einem Proteinkinase-Inhibitor erhalten haben (Schritt 1b) [3]. Zum anderen legt er den Beschluss aus dem Jahr 2021 zu Erwachsenen zugrunde, die eine systemische Therapie nach einer Behandlung mit Sorafenib und/oder Lenvatinib benötigen (Schritt 1c) [2].

Den Beschlüssen entnimmt der pU die folgenden Anzahlen:

- 5 bis 35 Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven, RAI-refraktären Schilddrüsenkarzinom in der Erstlinientherapie (Schritt 1a),
- 1 Patientin bzw. Patient ab 12 Jahren bis < 18 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, nach vorangegangener Therapie mit einem Proteinkinase-Inhibitor (Schritt 1b) und
- 2 bis 16 erwachsene Patientinnen und Patienten mit einem fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, die eine systemische Therapie nach einer Behandlung mit Sorafenib und/oder Lenvatinib benötigen (Schritt 1c).

Der pU summiert die entsprechenden Anzahlen und weist somit für Schritt 1 eine Gesamtanzahl von 8 bis 52 Patientinnen und Patienten aus.

Schritt 2: Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren in der GKV-Zielpopulation

Zur Ermittlung eines Anteils der Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren innerhalb der Patientenpopulation mit Schilddrüsenkarzinom, die sämtliche Altersgruppen umfasst, greift der pU auf eine Datenbankabfrage des Zentrums für Krebsregisterdaten (ZfKD) zurück (Datenstand 19.11.2025) [4]. Unter Verwendung des Diagnosecodes C73 (Bösartige Neubildung der Schilddrüse) gemäß der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme, 10. Version, Deutsche Modifikation (ICD-10-GM), betrachtet der pU die Fallzahlen zur Inzidenz des Schilddrüsenkrebs in den Jahren 1999 bis 2023 unterteilt in Altersgruppen. Da sich keine Daten für die Altersgruppe der 2- bis unter 12-Jährigen entnehmen lassen, legt er die Auswertung zu Patientinnen und Patienten im Alter von 0 bis 14 Jahren zugrunde. Der pU berechnet jeweils den jährlichen Anteil der 0- bis 14-Jährigen und bestimmt anschließend hieraus einen Mittelwert von 0,25 %. Diesen überträgt er auf die Anzahl aus Schritt 1 und ermittelt eine Anzahl von 0 bis 1 Patientin bzw. Patient im Alter von 2 bis < 12 Jahren in der GKV-Zielpopulation.

II 1.3.2 Bewertung des Vorgehens des pU

Die Herleitung des pU ist rechnerisch transparent dargestellt. Die Herleitung des pU zur Anzahl an Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation weist verschiedene Unsicherheiten auf. Insgesamt ist davon auszugehen, dass die Anzahl auch höher liegen kann.

In der Bewertung des Nutzenbewertungsverfahrens zu Selpercatinib aus dem Jahr 2024 wurde die Anzahl in der GKV-Zielpopulation (Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven, RAI-refraktären Schilddrüsenkarzinom in der Erstlinientherapie) unter anderem aufgrund einer fraglichen Übertragbarkeit mehrerer Anteilswerte bei der Herleitung als unsicher bewertet [5]. Zu einem ähnlichen Ergebnis kam es in der Bewertung mit Bezug auf vorbehandelte Patientinnen und Patienten ab 12 bis < 18 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom unter anderem aufgrund der Umrechnung von Inzidenz und Prävalenz und der Anteilswertgewinnung einer Vorbehandlung mit Sorafenib und / oder Lenvatinib [5]. In der Bewertung des Nutzenbewertungsverfahrens zu Selpercatinib aus dem Jahr 2021 zu vorbehandelten Erwachsenen mit einem fortgeschrittenen RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, wurde die Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation – aufgrund eines zu niedrig angesetzten Anteilswerts für eine systemische Erstlinientherapie – als unterschätzt bewertet [6]. Diese Unsicherheiten bzw. Unterschätzung, die im Rahmen des jeweiligen Verfahrens adressiert wurden, bestehen grundsätzlich fort [5,6].

Mit Bezug auf das Vorgehen des pU führt die Übertragung von Patientenzahlen aus den Beschlüssen zu Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren auf die hier vorliegende und zu bewertende Population im Alter von 2 bis < 12 Jahren zu Unsicherheit, da das Krankheitsbild in Abhängigkeit vom Alter unterschiedlich ausgeprägt sein kann. Es liegen zum Beispiel Hinweise dafür vor, dass der Anteil für das fortgeschrittene Stadium bei differenzierten Schilddrüsenkarzinomen zum Zeitpunkt der Diagnose bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Vergleich zu Erwachsenen höher liegen kann [7]. Ein weiterer Aspekt ist, dass der Anteil mit positivem RET-Fusionsstatus bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten im Vergleich zu erwachsenen Patientinnen und Patienten höher liegen kann [7-9].

Hinzukommend ist mit Bezug auf Schritt 2 darauf hinzuweisen, dass der vom pU ausgewiesene Anteil von 0,25 %, welcher einer Datenbankabfrage des ZfKD [4] zu Patientinnen und Patienten im Alter von 0 bis 14 Jahren entnommen wurde, sich auf alle Formen des Schilddrüsenkarzinoms (z. B. einschließlich medullärem Schilddrüsenkarzinom) bezieht. Zudem handelt es sich bei diesem Anteil um eine Angabe auf Grundlage einer Inzidenz, die der pU auf eine prävalente Population überträgt.

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

Der pU extrapoliert die ermittelte Anzahl der Patientinnen und Patienten in der GKV-Zielpopulation (0 bis 1 Patientin bzw. Patient) für die nächsten 5 Jahre mithilfe einer mittleren jährlichen Steigerungsrate. Diese ermittelt er anhand der Fallzahlen zur Inzidenz des Schilddrüsenkrebs der 0- bis 14-Jährigen in den Jahren 1999 bis 2023 auf Basis von Daten des ZfKD [4], indem er jährliche Steigerungsraten bildet und anschließend eine mittlere jährliche Steigerungsrate der Inzidenz in Höhe von 6,49 % bestimmt. Somit berechnet er weiterhin eine Anzahl von 0 bis 1 Patientin bzw. Patient in der GKV-Zielpopulation im Jahr 2031.

II 1.3.5 Anzahl der Patientinnen und Patienten – Zusammenfassung

Tabelle 1: 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 < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für RAI ist (wenn RAI angemessen ist) ^b	0–1	Die Herleitung des pU weist verschiedene Unsicherheiten auf. Insgesamt ist davon auszugehen, dass die Anzahl auch höher liegen kann.
a. Angabe des pU b. Gemäß G-BA wird davon ausgegangen, dass kurative Behandlungsmaßnahmen und lokale Behandlungsoptionen nicht mehr in Betracht kommen. Zudem wird gemäß G-BA davon ausgegangen, dass für die Patientinnen und Patienten aufgrund ihrer Symptomatik die Indikation für eine systemische antineoplastische Therapie besteht und daher unter anderem eine abwartende Strategie („Watch & Wait“) nicht in Betracht kommt. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RAI: radioaktives Iod; RET: Rearranged during Transfection			

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

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

- Sorafenib

Sorafenib ist gemäß Fachinformation angezeigt zur Behandlung von Patientinnen und Patienten mit progressivem, lokal fortgeschrittenem oder metastasiertem, differenziertem (papillärem / follikulärem / Hürthle-Zell) Schilddrüsenkarzinom, welches gegenüber RAI refraktär ist [10]. Es ist darauf hinzuweisen, dass sich unter Abschnitt 4.2 der Fachinformation [10] ausschließlich Angaben zum Behandlungsmodus von Erwachsenen entnehmen lassen, die der pU letztlich zur Darstellung der Kosten heranzieht. Ferner ist der Fachinformation (Abschnitt 4.2) [10] zu entnehmen, dass die Sicherheit und Wirksamkeit von Sorafenib bei Kindern und Jugendlichen im Alter < 18 Jahren bisher noch nicht erwiesen ist und keine Daten hierzu vorliegen. Die Kostenangaben des pU zu Sorafenib werden im Folgenden deskriptiv beschrieben, da unklar ist, wie der Behandlungsmodus und die Dosierung von Sorafenib im Rahmen der Anwendung bei Kindern ab 2 bis < 12 Jahren erfolgen.

Der pU liefert zusätzliche Angaben zu den Kosten von Lenvatinib und Best supportive Care. Diese zusätzlichen Angaben werden nicht kommentiert, da sie nicht Bestandteil der benannten zweckmäßigen Vergleichstherapie sind.

II 2.1 Behandlungsdauer und Verbrauch

Die Angaben des pU zur Behandlungsdauer und zum Verbrauch von Selpercatinib entsprechen der Fachinformation [1]. Die Behandlung mit Selpercatinib sollte bis zum Krankheitsprogress oder inakzeptabler Toxizität fortgesetzt werden. In der vorliegenden Bewertung wird rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr zugrunde gelegt, auch wenn die tatsächliche Behandlungsdauer patientenindividuell unterschiedlich ist. Dies entspricht dem Vorgehen des pU.

Der Verbrauch von Selpercatinib richtet sich für pädiatrische Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren nach der Körperoberfläche (KOF) [1]. Der pU legt für seine Berechnungen die DuBois-Formel und die durchschnittlichen Körpermaße gemäß den Erstergebnissen der Mikrozensusdaten des Statistischen Bundesamtes aus dem Jahr 2025 zugrunde [11]. Der pU berechnet auf diese Weise den Verbrauch von Selpercatinib für Kinder im Alter von 2 bis < 3 Jahren (Größe: 93 cm, Gewicht: 14,8 kg) als Untergrenze und für Kinder im Alter von 11 bis < 12 Jahren (Größe: 151 cm, Gewicht: 43,6 kg) als Obergrenze. Demnach liegt der Verbrauch von Selpercatinib für die Untergrenze bei 40 mg 3-mal täglich (KOF: 0,45 m² bis 0,65 m²) und für die Obergrenze bei 120 mg 2-mal täglich (KOF: 1,09 m² bis 1,52 m²). Die vom pU angesetzte Spanne für den Verbrauch ist nachvollziehbar.

Gemäß Fachinformation von Sorafenib sollte die Behandlung so lange fortgesetzt werden, wie ein klinischer Nutzen zu beobachten ist oder bis eine inakzeptable Toxizität auftritt [10]. Für Sorafenib geht der pU von einer täglichen Gabe aus und veranschlagt rechnerisch die Behandlung über das gesamte Jahr. Er setzt für Sorafenib pro Behandlungstag eine Tagesgesamtdosis von 800 mg, die sich der Fachinformation mit Bezug auf erwachsene Patientinnen und Patienten entnehmen lässt [10].

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) und Sorafenib 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.

II 2.3 Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen

Der pU setzt für Selpercatinib und Sorafenib keine Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen an. Jedoch können bei Selpercatinib für einen Teil der Patientinnen und Patienten Kosten für die Testung auf RET-Fusions-Positivität anfallen, die der pU nicht veranschlagt. Gemäß Fachinformation von Sorafenib ist der Blutdruck regelmäßig zu überprüfen [10].

II 2.4 Jahrestherapiekosten für die GKV – Zusammenfassung

Tabelle 2: 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	Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für RAI ist (wenn RAI angemessen ist)	17 610,53–35 099,70	0	0	17 610,53–35 099,70 ^b	Die angegebenen Arzneimittelkosten sind plausibel. Es können Kosten für zusätzlich notwendige GKV-Leistungen anfallen, die der pU nicht veranschlagt.
Zweckmäßige Vergleichstherapie						
Sorafenib	Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-Fusions-positiven Schilddrüsenkarzinom, das refraktär für RAI ist (wenn RAI angemessen ist)	4295,27	0	0	4295,27	Die Angaben des pU basieren auf dem Behandlungsmodus und der Dosierung für Erwachsene. Es ist insgesamt unklar, wie der Behandlungsmodus und die Dosierung von Sorafenib im Rahmen der Anwendung bei Kindern ab 2 bis < 12 Jahren erfolgen.
a. Angaben des pU b. Die Untergrenze gibt die Kosten für Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 3 Jahren und die Obergrenze für Patientinnen und Patienten im Alter von 11 bis < 12 Jahren an. GKV: gesetzliche Krankenversicherung; pU: pharmazeutischer Unternehmer; RAI: radioaktives Iod; RET: Rearranged during Transfection						

II 2.5 Versorgungsanteile

Der pU gibt an, dass der zu erwartende Versorgungsanteil von Selpercatinib nicht zuverlässig abzuschätzen ist. Zusätzlich macht er Angaben zu Kontraindikationen und erwartet, dass die Patientinnen und Patienten sowohl im ambulanten als auch 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 (AM-RL): Anlage XII – Nutzenbewertung von Arzneimitteln mit neuen Wirkstoffen nach § 35a SGB V; Selpercatinib (Schilddrüsenkarzinom, RET-Fusion+, nach Sorafenib und/oder Lenvatinib Vortherapie) [online]. 2021. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-5001/2021-09-02_AM-RL-XII_Selpercatinib_D-657_BAnz.pdf.
3. 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: Schilddrüsenkarzinom, RET-Fusion+, refraktär gegenüber Radiojod, Erstlinie oder nach systemischer Vortherapie, ≥ 12 Jahre) [online]. 2024. URL: https://www.g-ba.de/downloads/39-261-6900/2024-11-07_AM-RL-XII_Selpercatinib_D-1061_BAnz.pdf.
4. Zentrum für Krebsregisterdaten. Datenbankabfrage: Schilddrüse (C73). Inzidenz, Fallzahlen in Deutschland (Datenstand: 19.11.2025) [online]. 2025. URL: https://www.krebsdaten.de/Krebs/DE/Datenbankabfrage/datenbankabfrage_stufe1_node.html.
5. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Selpercatinib (RET-Fusions-positives Schilddrüsenkarzinom); Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2024 [Zugriff: 16.08.2024]. URL: <https://doi.org/10.60584/A24-62>.
6. Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen. Selpercatinib (RET-Fusions-positives Schilddrüsenkarzinom) – Nutzenbewertung gemäß § 35a SGB V; Dossierbewertung [online]. 2021 [Zugriff: 11.07.2023]. URL: https://www.iqwig.de/download/a21-29_selpercatinib_nutzenbewertung-35a-sgb-v_v1-0.pdf.
7. Lebbink CA, Links TP, Czarniecka A et al. 2022 European Thyroid Association Guidelines for the management of pediatric thyroid nodules and differentiated thyroid carcinoma. Eur Thyroid J 2022; 11(6). <https://doi.org/10.1530/etj-22-0146>.
8. Romei C, Ciampi R, Elisei R. A comprehensive overview of the role of the RET proto-oncogene in thyroid carcinoma. Nat Rev Endocrinol 2016; 12(4): 192-202. <https://doi.org/10.1038/nrendo.2016.11>.

9. Pozdeyev N, Gay LM, Sokol ES et al. Genetic Analysis of 779 Advanced Differentiated and Anaplastic Thyroid Cancers. Clin Cancer Res 2018; 24(13): 3059-3068.
<https://doi.org/10.1158/1078-0432.CCR-18-0373>.

10. Mylan Germany. Sorafenib Mylan 200 mg Filmtabletten [online]. 05.2026. URL: <https://www.fachinfo.de/>.

11. Gesundheitsberichterstattung des Bundes. Durchschnittliche Körpermaße der Bevölkerung (Größe in m, Gewicht in kg). Gliederungsmerkmale: Jahre, Deutschland, Alter, Geschlecht (Bezugsjahr: 2025) [online]. 2026. URL: https://www.gbe-bund.de/gbe/isgbe.startseite?p_uid=gast&p_aid=57460240&p_sprache=D.