

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 als Monotherapie im Vergleich mit einer individualisierten Therapie als zweckmäßiger Vergleichstherapie bei Kindern ab 2 Jahren mit einem fortgeschrittenen Rearranged-during-Transfection(RET)-mutierten medullären Schilddrüsenkarzinom (MTC). Gegenstand der vorliegenden Nutzenbewertung sind dabei Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren.

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 Jahren bis < 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-mutierten medullären Schilddrüsenkarzinom	individualisierte Therapie ^b unter Auswahl von ▪ Vandetanib und ▪ Cabozantinib (kommt nur für Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 5 Jahren infrage)
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapien 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. Für die Umsetzung der zweckmäßigen Vergleichstherapie kann sowohl eine Single-Komparator-Studie mit dem Wirkstoff Vandetanib als auch eine Multi-Komparator-Studie unter Auswahl aus den oben genannten Behandlungsoptionen geeignet sein. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; RET: Rearranged during Transfection	

Der pU folgt grundsätzlich der Festlegung des G-BA zur zweckmäßigen Vergleichstherapie. Allerdings schränkt er die Anwendung von Cabozantinib nicht auf Kinder im Alter von 2 bis < 5 Jahren ein (siehe Tabelle 2) und benennt zusätzlich Best supportive Care (BSC) als Therapieoption im Rahmen der individualisierten Therapie.

Die Abweichung des pU von der zweckmäßigen Vergleichstherapie ist nicht sachgerecht. Da der pU für die Nutzenbewertung keine geeigneten Daten vorlegt, bleiben die beschriebenen Abweichungen ohne Konsequenz. Die vorliegende Bewertung erfolgt auf Basis der vom G-BA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie.

Die Bewertung wird anhand patientenrelevanter Endpunkte auf Basis der vom pU im Dossier vorgelegten Daten vorgenommen. Für die Ableitung des Zusatznutzens werden randomisierte kontrollierte Studien (RCTs) herangezogen.

Ergebnisse

In Übereinstimmung mit dem pU wurde durch die Überprüfung der Vollständigkeit des Studienpools keine RCT zum direkten Vergleich von Selpercatinib gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-mutierten MTC identifiziert.

Für die Bewertung des Zusatznutzens von Selpercatinib bei Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 12 Jahren strebt der pU daher einen Evidenztransfer der Ergebnisse der bereits aus der Dossierbewertung A25-71 bekannten RCT LIBRETTO-531 bei Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren unter Berücksichtigung von Daten der aus der Dossierbewertung A24-62 bekannten 1-armigen zulassungsbegründenden pädiatrischen Studie LIBRETTO-121 an. Der pU führt dabei weder eine Informationsbeschaffung für direkt vergleichende Studien bei Erwachsenen und Jugendlichen ab 12 Jahren mit fortgeschrittenem RET-mutierten MTC noch für nicht vergleichende Studien (weitere Untersuchungen) bei Patientinnen und Patienten ab 2 bis < 12 Jahren durch.

Ungeachtet der Mängel bei der Informationsbeschaffung sind die vom pU vorgelegten Daten nicht geeignet, um Aussagen zum Zusatznutzen von Selpercatinib im Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren bis < 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-mutierten MTC abzuleiten. Dafür sind folgende Gründe maßgeblich:

- Es bestehen Zweifel an der Vergleichbarkeit der Erkrankung zwischen Kindern und Erwachsenen.
- Für die zu bewertende Altersgruppe (2 bis < 12 Jahre) sind insgesamt nur wenige Daten vorhanden:
 - Lediglich 5 Kinder im zu bewertenden Anwendungsgebiet wurden mit der Intervention Selpercatinib behandelt (für diese Patientinnen und Patienten legt der pU jedoch keine separat aufbereiteten Daten vor) und
 - für die Behandlung mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie liegen im Dossier gar keine Daten vor.
- Zudem bereitet der pU in seinem Dossier weder die RCT LIBRETTO-531 noch die 1-armige Studie LIBRETTO-121 strukturiert auf. Grundlegende Informationen und Ergebnisse, welche jedoch die Voraussetzung für die Prüfung einer Übertragung von Evidenz darstellen, fehlen zu beiden Studien.

Eine Übertragung des Zusatznutzens von Patientinnen und Patienten ab 12 Jahren auf die Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 12 Jahren ist damit, unabhängig von den Mängeln bei der Informationsbeschaffung des pU (siehe Abschnitt oben), nicht möglich. Die vom pU vorgelegten Daten sind nicht geeignet, um Aussagen zum Zusatznutzen von Selpercatinib im Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei Patientinnen und Patienten ab 2 Jahren bis < 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-mutierten MTC abzuleiten.

Ergebnisse zum Zusatznutzen

Da für die 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 Jahren bis < 12 Jahren mit einem fortgeschrittenen RET-mutierten medullären Schilddrüsenkarzinom	individualisierte Therapie ^b unter Auswahl von ▪ Vandetanib und ▪ Cabozantinib (kommt nur für Patientinnen und Patienten im Alter von 2 bis < 5 Jahren infrage)	Zusatznutzen nicht belegt
a. Dargestellt ist die vom G-BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie. b. Bei der Bestimmung der zweckmäßigen Vergleichstherapien 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. Für die Umsetzung der zweckmäßigen Vergleichstherapie kann sowohl eine Single-Komparator-Studie mit dem Wirkstoff Vandetanib als auch eine Multi-Komparator-Studie unter Auswahl aus den oben genannten Behandlungsoptionen geeignet sein. G-BA: Gemeinsamer Bundesausschuss; RET: Rearranged during Transfection		

Über den Zusatznutzen beschließt der G-BA.