## I 1 Kurzfassung der Nutzenbewertung

### Hintergrund

Der Gemeinsame Bundesausschuss (GBA) hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) mit der Nutzenbewertung des Wirkstoffs Decitabin/Cedazuridin (in Kombination mit Venetoclax) gemäß § 35a Sozialgesetzbuch (SGB) V beauftragt. Die Bewertung erfolgt auf Basis eines Dossiers des pharmazeutischen Unternehmers (pU). Das Dossier wurde dem IQWiG am 13.07.2026 übermittelt.

### Fragestellung

Das Ziel des vorliegenden Berichts ist die Bewertung des Zusatznutzens der Fixkombination aus Decitabin und Cedazuridin in Kombination mit Venetoclax (im Folgenden Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax) im Vergleich mit der zweckmäßigen Vergleichstherapie bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie (AML), für die eine Standard-Induktionschemotherapie nicht infrage kommt.

Aus der Festlegung der zweckmäßigen Vergleichstherapie des GBA ergibt sich die in Tabelle 2 dargestellte Fragestellung.

Tabelle 2: Fragestellung der Nutzenbewertung von Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax

| **Indikation** | **Zweckmäßige Vergleichstherapie[a, b, c]** |
|---|---|
| Erwachsene mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie[d], für die eine Standard-Induktionschemotherapie nicht infrage kommt | ▪ Venetoclax in Kombination mit Azacitidin<br>oder<br>▪ Venetoclax in Kombination mit Decitabin<br>oder<br>▪ Ivosidenib in Kombination mit Azacitidin (kommt nur für Patientinnen und Patienten mit IDH1-R132-Mutation infrage) |
| a. Dargestellt ist die vom GBA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.<br>b. Es wird davon ausgegangen, dass alle Patientinnen und Patienten im Anwendungsgebiet zum Zeitpunkt der Therapie nicht für eine alleinige Best-Supportive-Care-Behandlung infrage kommen.<br>c. Die vorliegend bestimmte zweckmäßige Vergleichstherapie umfasst gemäß GBA mehrere, alternative Therapieoptionen. Dabei stellen einzelne Therapieoptionen nur für den Teil der Patientenpopulation eine Vergleichstherapie dar, welche die in Klammern angegebenen Merkmale zu Patienten- und Krankheitscharakteristika aufweist. Sofern die zweckmäßige Vergleichstherapie mehrere alternative Therapieoptionen ohne Einschränkung umfasst, kann der Zusatznutzen für die Gesamtpopulation gegenüber einer dieser alternativen Therapieoptionen nachgewiesen werden.<br>d. Gemäß GBA wird davon ausgegangen, dass Patientinnen und Patienten mit akuter Promyelozytenleukämie nicht vom Anwendungsgebiet umfasst sind. Diese Patientenpopulation unterscheidet sich in Ätiologie und therapeutischem Vorgehen.<br>GBA: Gemeinsamer Bundesausschuss; IDH1: Isocitrat-Dehydrogenase-1 | |

Der pU folgt der vom GBA 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 keine relevante RCT identifiziert, die einen direkten Vergleich von Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax gegenüber der zweckmäßigen Vergleichstherapie zulässt. Somit liegen insgesamt keine Daten zur Ableitung eines Zusatznutzens von Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax im Vergleich zur vom GBA festgelegten zweckmäßigen Vergleichstherapie vor.

**Ergebnisse zum Zusatznutzen**

Für die Bewertung von Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax im Vergleich zur zweckmäßigen Vergleichstherapie bei erwachsenen Patientinnen und Patienten mit neu diagnostizierter AML, für die eine Standard-Induktionschemotherapie nicht infrage kommt, liegen keine Daten vor. Es ergibt sich kein Anhaltspunkt für einen Zusatznutzen von Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax 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 Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax.

Tabelle 3: Decitabin/Cedazuridin + Venetoclax – Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens

| **Indikation** | **Zweckmäßige Vergleichstherapie**[a, b, c] | **Wahrscheinlichkeit und Ausmaß des Zusatznutzens** |
|---|---|---|
| Erwachsene mit neu diagnostizierter akuter myeloischer Leukämie[d], für die eine Standard-Induktionschemotherapie nicht infrage kommt | ▪ Venetoclax in Kombination mit Azacitidin<br>oder<br>▪ Venetoclax in Kombination mit Decitabin<br>oder<br>▪ Ivosidenib in Kombination mit Azacitidin (kommt nur für Patientinnen und Patienten mit IDH1-R132-Mutation infrage) | Zusatznutzen nicht belegt |

a. Dargestellt ist die vom G BA festgelegte zweckmäßige Vergleichstherapie.
b. Es wird davon ausgegangen, dass alle Patientinnen und Patienten im Anwendungsgebiet zum Zeitpunkt der Therapie nicht für eine alleinige Best-Supportive-Care-Behandlung infrage kommen.
c. Die vorliegend bestimmte zweckmäßige Vergleichstherapie umfasst gemäß GBA mehrere, alternative Therapieoptionen. Dabei stellen einzelne Therapieoptionen nur für den Teil der Patientenpopulation eine Vergleichstherapie dar, welche die in Klammern angegebenen Merkmale zu Patienten- und Krankheitscharakteristika aufweist. Sofern die zweckmäßige Vergleichstherapie mehrere alternative Therapieoptionen ohne Einschränkung umfasst, kann der Zusatznutzen für die Gesamtpopulation gegenüber einer dieser alternativen Therapieoptionen nachgewiesen werden.
d. Gemäß GBA wird davon ausgegangen, dass Patientinnen und Patienten mit akuter Promyelozytenleukämie nicht vom Anwendungsgebiet umfasst sind. Diese Patientenpopulation unterscheidet sich in Ätiologie und therapeutischem Vorgehen.

GBA: Gemeinsamer Bundesausschuss; IDH1: Isocitrat-Dehydrogenase-1

Über den Zusatznutzen beschließt der GBA.